X kadencja



KANCELARIA SEJMU
Biuro Komisji Sejmowych

PEŁNY ZAPIS PRZEBIEGU POSIEDZENIA

■ **Komisji Zdrowia**
(nr 17)
z dnia 20 marca 2024 r.

Pełny zapis przebiegu posiedzenia

Komisji Zdrowia (nr 17)

20 marca 2024 r.

Komisja Zdrowia, obradująca pod przewodnictwem posłów: **Bartosza Arłukowicza (KO)**, przewodniczącego Komisji, i **Elżbiety Gelert (KO)**, zastępcy przewodniczącego Komisji, rozpatrzyła:

– informację na temat stanu diagnostyki i finansowania chorób rzadkich.

W posiedzeniu udział wzięli: **Urszula Demkow** oraz **Maciej Miłkowski** podsekretarze stanu w Ministerstwie Zdrowia ze współpracownikami, **Marzanna Bieńkowska** zastępca dyrektora Departamentu Współpracy w Biurze Rzecznika Praw Pacjenta, **Krzysztof Górski** dyrektor Wydziału Nauki i Zarządzania Projektami Niekomercyjnymi Agencji Badań Medycznych ze współpracownikiem, **Monika Trojan** dyrektor Departamentu Oceny Dokumentacji Produktów Leczniczych Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, **Agata Wolnicka** naczelnik Wydziału Programów Lekowych i Chemioterapii Departamentu Gospodarki Lekami Centrali Narodowego Funduszu Zdrowia wraz ze współpracownikami, **Tomasz Anyszek** oraz **Iwona Zakierska** eksperci Pracodawców RP, **Katarzyna Baranow** wiceprzewodnicząca grupy chorób rzadkich oraz **Ewa Kiersztyn** manager ds. refundacji i cen Związku Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA, **Iwona Borchulska** członek Zarządu Krajowego oraz **Krystyna Ptok** przewodnicząca Ogólnopolskiego Związku Zawodowego Pielęgniarek i Położnych ze współpracownikami, **Grażyna Cebula-Kubat** przewodnicząca Ogólnopolskiego Związku Zawodowego Lekarzy, **Tomasz Dybek** prezes Krajowej Izby Fizjoterapeutów wraz ze współpracownikami, **Anna Latos-Bieleńska** przewodnicząca Rady do spraw Chorób Rzadkich, **Anna Kostera-Pruszczyk** kierownik Katedry i Kliniki Neurologii Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, Centralny Szpital Kliniczny UCK WUM, **Stanisław Maćkowiak** prezes Federacji Pacjentów Polskich, **Marzena Nelkien** dyrektor Krajowego Forum na rzecz terapii chorób rzadkich ORPHAN, **Monika Pintal-Ślimak** prezes Krajowej Rady Diagnostów Laboratoryjnych wraz ze współpracownikiem, **Irena Rej** prezes Izby Gospodarczej „Farmacja Polska" ze współpracownikiem, **Wojciech Wiśniewski** ekspert Federacji Przedsiębiorców Polskich, **Dawid Witkowski** wiceprezes Fundacji Sanguis Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne, **Oskar Kotela** asystent społeczny poseł Wiolety Tomczak oraz **Aleksander Łabanowski** asystent przewodniczącego Komisji.

W posiedzeniu udział wzięli pracownicy Kancelarii Sejmu: **Małgorzata Siedlecka-Nowak** oraz **Jakub Stefański** – z sekretariatu Komisji w Biurze Komisji Sejmowych.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Zaczynamy posiedzenie Komisji Zdrowia. Witam członków Komisji i zaproszonych gości. Stwierdzam kworum. Porządek dzisiejszego posiedzenia zatwierdzony przez prezydium przewiduje rozpatrzenie informacji na temat stanu diagnostyki i finansowania leczenia chorób rzadkich. Informację przedstawia minister zdrowia. Oddaję głos przedstawicielom Ministerstwa Zdrowia. Bardzo proszę. Słucham.

Poseł Janusz Cieszyński (PiS):

Panie przewodniczący, ja chciałbym, żebyśmy przed rozpatrzeniem tej bardzo istotnej informacji uzyskali też informacje od Ministerstwa Zdrowia na temat harmonogramu udostępnienia informacji podkomisji do spraw tej ustawy wynagrodzeniowej. W tym tygodniu z powodu braku tych danych zostało odwołane najpierw robocze spotkanie podkomisji, później posiedzenie samej podkomisji. My zobowiązaliśmy się do tego, że ten projekt ustawy zostanie uchwalony jeszcze przed lipcem…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Panie pośle, przepraszam, że panu przerywam, ale porządek obrad naszej Komisji został uchwalony przez prezydium, w którego składzie zasiada przedstawiciel pana formacji. Zamykam tę dyskusję. Oddaję głos ministrowi zdrowia.

Poseł Janusz Cieszyński (PiS):

Panie przewodniczący, to jest…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Porządek obrad został ustalony. Koniec dyskusji. Minister zdrowia…

Poseł Janusz Cieszyński (PiS):

Panie przewodniczący!

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Minister zdrowia – proszę bardzo o głos. Zaraz pani włączę mikrofon. Czekam, aż się wyciszy poseł Cieszyński. Sekunda.

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

A czy ja mogę dwa zdania? To może w takim razie…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Proszę. W jakiej sprawie?

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

W sprawie właśnie tego prezydium. To może ustalmy, że na posiedzeniu prezydium już z góry ustalimy, że nasza formacja, nasz klub będzie mógł składać na posiedzeniach Komisji Zdrowia wnioski formalne tak z założenia i nie będziemy mieć problemu, bo widzę, że każdy wniosek formalny jest wycofywany i pan poseł nie jest dopuszczany do głosu.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

To pani poseł zgłosi to na posiedzeniu prezydium. Wtedy prezydium to ustali, ale teraz trwa posiedzenie Komisji a nie prezydium.

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

To ja już na…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Bardzo dziękuję. Minister zdrowia… Proszę się nie awanturować. Minister zdrowia – oddaję głos.

Można zgłosić wniosek formalny. W tej chwili oddaję głos ministrowi zdrowia. Pani minister…

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

No właśnie. Ale, panie przewodniczący…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Pani minister, proszę zabrać głos i rozpoczynać z nami debatę na temat chorób rzadkich. Pani minister Demkow. Głos oddaję. Bardzo proszę.

Poseł Janusz Cieszyński (PiS):

Panie przewodniczący, pan mi przerwał w połowie uzasadnienia. Nie byłem w stanie zgłosić...

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Proszę sekretariat o uruchomienie mikrofonu. Bardzo proszę, pani minister.

Podsekretarz stanu w Ministerstwie Zdrowia Urszula Demkow:

Dziękuję bardzo. Już sprzęt działa. Szanowni państwo, witam pana przewodniczącego serdecznie, prezydium oraz wszystkich państwa posłów i osoby zainteresowane tematem, które dzisiaj są tutaj z nami.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Pani minister, proszę bliżej mikrofonu, bo jest dużo ludzi na sali i źle słychać.

Podsekretarz stanu w MZ Urszula Demkow:

Już zbliżam się do mikrofonu, mikrofon zbliża się do mnie. Chciałabym państwa zaprosić do debaty o chorobach rzadkich, przedstawić stan, jaki mamy na dzisiaj, gdzie jesteśmy i jakie mamy plany na najbliższy i dalszy okres.

Choroby rzadkie wcale nie są takie rzadkie, bo choć każda z nich jest osobno rzadka, to jeżeli je wszystkie razem zsumujemy, to dotyczą 2-3 mln naszych obywateli, a więc jest to całkiem spora grupa osób. Możemy je podzielić na takie trzy kategorie – choroby rzadkie, choroby ultra rzadkie, czyli takie, gdzie mamy rzeczywiście pojedynczych pacjentów w skali kraju i choroby niezdiagnozowane. Czyli są jeszcze takie choroby, jest ich coraz mniej, w których nie mamy i do końca nowoczesnymi metodami nie możemy postawić diagnozy.

Choroby rzadkie były przedmiotem zainteresowania Ministerstwa Zdrowia już od jakiegoś czasu. W 2021 r. powstał „Plan dla chorób rzadkich”, który zamierzamy kontynuować, chociaż w międzyczasie „Plan dla chorób rzadkich” wygasł. Zakończył się 31 grudnia 2023 r. Zatem takim pierwszym krokiem będzie jakby reaktywacja tego planu, uruchomienie jego drugiego etapu, który będzie poniekąd kontynuacją tego, co działo się poprzednio.

Jakie elementy – tak dla przypomnienia – obejmuje „Plan dla chorób rzadkich”? Obejmuje, po pierwsze, utworzenie pewnych struktur, takich jak platforma dla chorób rzadkich, która służy głównie pacjentom i wszelkim osobom zainteresowanym do uzyskania szerokich informacji o chorobach rzadkich, o różnych metodach diagnostyczno-terapeutycznych i szerokiej wiedzy na temat tych chorób potrzebnych na co dzień pacjentom i ich rodzinom.

Rejestr chorób rzadkich z kolei będzie bardziej służył decydentom systemu ochrony zdrowia. Będziemy mogli dokładnie wiedzieć, ile i jakie te choroby rzadkie są, kogo dotyczą, jakie są problemy, jaka jest ścieżka pacjenta i na tej podstawie będziemy mogli podejmować odpowiednie decyzje, jeśli chodzi o pomoc pacjentom z chorobami rzadkimi.

Kolejnym elementem planu jest karta pacjenta, która będzie zawierała podstawowe informacje, które mogą służyć osobom udzielającym pierwszej pomocy pacjentom z chorobą rzadką. Na tej karcie będą zakodowane podstawowe informacje medyczne, co pozwoli skrócić ścieżkę diagnostyczną i ułatwi szybkie postawienie odpowiedniej diagnozy na dany moment i wdrożenie odpowiedniego postępowania.

Bardzo ważne jest również wprowadzanie do koszyka świadczeń gwarantowanych testów diagnostycznych, które będą mogły być refundowane w systemie AOS oraz w systemie lecznictwa szpitalnego do sumowania z istniejącą procedurą. Jeśli chodzi o dwa testy genetyczne, czyli mikromacierze aCGH oraz badanie ekspresji genów metodą real-time PCR to rozporządzenia koszykowe są już… Dziś pani minister Leszczyna podpisze rozdzielnik, więc będą udawały się do konsultacji społecznych i będą mogły być bardzo szybko wprowadzone.

Kolejne badanie, które czeka, to są badania metodą sekwencjonowania nowej generacji. Badanie całogenomowe WES jest już również wycenione, natomiast nie możemy go wprowadzić do koszyka przed wprowadzeniem badań panelowych ze względu na to, że badania bardziej szczegółowe powinny wyprzedzać badanie całogenomowe, co powoduje bardziej racjonalne wykorzystanie diagnostyki genetycznej.

Generalnie do Agencji Oceny Technologii Medycznej i Taryfikacji zostało również przekazane zlecenie w zakresie wydania rekomendacji w sprawie następujących świadczeń, występujących badań jako świadczeń gwarantowanych: aminokwasy rozgałęzione w suchej kropli krwi; profil aminokwasów w osoczu, surowicy lub moczu; profil aminokwasów acylokarnityn w suchej kropli krwi; profil kwasów organicznych metodą GC-MS; bursztynyloaceton w suchej kropli krwi, homocysteina całkowita; kwas metylomalonowy, metylocytrynowy w suchej kropli krwi i pteryny w moczu. Czyli cały zakres badań metabolicznych, które również będą mogły być wycenione i osobno taryfikowane.

Jaki mamy dalszy harmonogram prac? Jeśli chodzi o platformę i o rejestr, oba te instrumenty będą przygotowane we współpracy z CeZ-em i z NFZ-em. Ja jestem już na ten czwartek umówiona z obiema instytucjami, zarówno z Centrum e-Zdrowia, jak i z NFZ-em i będziemy się starali przygotować i dalej procedować platformę i rejestr

chorób rzadkich. Jeśli chodzi o CeZ, wydaje się, że priorytet, który nadano temu zadaniu, jest zbyt niski i będziemy chcieli to renegocjować i postarać się nadać wyższy priorytet temu zadaniu.

Co jeszcze chciałam państwu powiedzieć? Było pytanie o finanse. W budżecie na realizację edycji „Planu dla chorób rzadkich" przewidziano prawie 129 mln zł. Z tego na uruchomienie platformy wydaliśmy 10 mln, szacunkowy koszt wprowadzenia nowych badań genetycznych dla ponad 13 300 świadczeniobiorców.

Jeśli chodzi o aCGH, to szacowane jest na 19 mln. Natomiast PCR wyceniono łącznie na około 13 mln. Pozostałe środki są do wykorzystania do budowy rejestru, platformy, karty i także do wprowadzenia nowych świadczeń, które będą mogły wzmocnić ośrodki eksperckie, żeby stały się one rzeczywiście finansowo opłacalne, żeby można było budować dalsze ośrodki eksperckie. Na razie jest to utrudnione z tego względu, że wycena świadczeń nie pozwala na to, aby zadania tych ośrodków eksperckich rzeczywiście nie były deficytowe.

Pani Dominiko, czy coś jeszcze? Czy o czymś zapomniałam?

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Gdyby pani Dominika zechciała się przedstawić.

Zastępca dyrektora Departamentu Lecznictwa MZ Dominika Janiszewska-Kajka:

Dzień dobry. Dominika Janiszewska-Kajka. Jestem zastępcą dyrektora w Departamencie Lecznictwa. Tytułem uzupełnienia, jeżeli można, panie przewodniczący.

Najważniejszą kwestią dla nas w tym momencie jest to, żeby przedłużyć plan, czyli reaktywować plan, który wygasł w zeszłym roku. W zasadzie wszystkie środki i nasze siły zostały skupione na tym, żeby ten plan reaktywować. Co za tym pójdzie? Będzie możliwa realizacja zadań, które zostały wpisane w ten plan. Czyli najważniejszą rzeczą jest powołanie ośrodków eksperckich, które będą spełniały kryteria ośrodków, które są Europejskimi Sieciami Referencyjnymi i wypracowanie modelu finansowania tych ośrodków. To już zostało zapowiedziane przez panią minister Leszczynę i polecone do szybkiego wdrożenia.

Teraz fundusze. Wypracowujemy dwa modele. Pierwszy, to jest model finansowania ośrodków eksperckich w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, a drugi w ramach leczenia szpitalnego. W ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej zostały wypracowane produkty rozliczeniowe, czyli będą mogły je rozliczać tylko te ośrodki, które są ośrodkami eksperckimi. Jesteśmy po pierwszych rozmowach, a myślę, że to jest kwestia finalizacji i określenia, które to są te ośrodki. Mamy listę przesłaną do NFZ-u i w zasadzie finalizujemy to zadanie.

Jeśli chodzi o finansowanie procedur udzielanych w ramach leczenia szpitalnego, to również chcemy wyróżnić ośrodki eksperckie w zakresie chorób rzadkich. Przygotowaliśmy pewien model finansowania, który też jest na ostatniej drodze prac z NFZ-em.

Proponujemy, aby dla pacjenta z chorobą rzadką były doliczane do sumowania badania diagnostyczne. W tym celu nawiązaliśmy współpracę oczywiście z konsultantem krajowym do spraw genetyki, który przedstawi nam w najbliższym czasie wykaz takich badań, które będą możliwe do sumowania. Co za tym idzie? Będzie po prostu pacjent przyjęty na oddział, będzie mu wykonana niezbędna diagnostyka i szpital nie będzie musiał dopłacać do takiego pacjenta, ale będzie to wyłącznie dedykowane ośrodkom, które są eksperckimi.

Tak jak powiedziała pani minister, pierwsza tura to są ośrodki, które zostały nominowane przez ministra zdrowia spośród ośrodków, które są w Europejskich Sieciach Referencyjnych. To było pierwsze kryterium, w zasadzie jedyne i nominacją ministra zdrowia one zostały uznane za ośrodki eksperckie. Jednak jako Ministerstwo Zdrowia nie chcemy zamykać drogi innym ośrodkom, które chciały być ośrodkami eksperckimi, a ponieważ naboru do sieci nie ma w tym momencie w Unii Europejskiej, chcemy to umożliwić poprzez to, że ośrodek spełni kryterium i zostanie zaliczony do grona tych ośrodków eksperckich. To są te dwa obszary, na których teraz głównie się skupiamy.

Oczywiście nie tracimy z pola widzenia tych innych ważnych, jak platforma informacyjna – niezwykle ważne narzędzie dla chorób rzadkich, dla pacjentów i lekarzy.

Pani minister oczywiście opowiedziała o tym bardzo dokładnie. Platforma służy pacjentom, lekarzom i będzie doskonałym źródłem informacyjnym wymiany informacji, ale też konsultowania przypadku, bo są choroby rzadkie, gdzie mamy jednego pacjenta z daną chorobą, więc taka platforma to jest pierwsze narzędzie dla pacjentów i lekarzy, które umożliwi taką konsultację. To zostało już uruchomione. Jednak najważniejszą rzeczą dla nas jest to, żeby ta platforma żyła. Czyli „Plan dla chorób rzadkich" będzie stanowił podstawę do powołania profesjonalnego zespołu redakcyjnego, który będzie zasilał prawdziwymi informacjami naukowymi odnośnie do danej choroby rzadkiej.

Pozostałe obszary to obszar lekowy, karta pacjenta i rejestr, ale to są działania zaplanowane na kolejne lata. Najważniejsze to przedłużyć plan i działać zgodnie z harmonogramem.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dziękuję bardzo. Rozpoczynam dyskusję wśród posłów. Pani poseł Gelert jako pierwsza, bardzo proszę. Prowadzimy listę. Proszę się zapisywać. Po kolei wszyscy dostaną głos. Zaczyna poseł Gelert i potem zacznie zapisywać do wypowiedzi.

Poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękuję bardzo. Ja mam tylko takie pytanie. Jak państwo czasowo to określacie, bo harmonogram ma być zrobiony? Tak bardzo przejrzyście pani tutaj o tym opowiadała, pani minister zresztą też, ale jak to wygląda czasowo. Kiedy tak naprawdę będą zamykane poszczególne etapy, żeby można było przechodzić do następnych? To jest moje główne pytanie. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dziękuję bardzo i zaczynamy. Pani poseł Chybicka. W miarę po kolei będziemy oddawali głos, tak jak widzimy podnoszone ręce. Pani poseł Chybicka.

Poseł Alicja Chybicka (KO):

Bardzo dziękuję panie przewodniczący. Szanowni państwo, zostałam poproszona o poprowadzenie parlamentarnego zespołu do spraw chorób rzadkich. Odbyły się trzy zebrania, jedno organizacyjne i dwa merytoryczne, w których uczestniczyli wiceministrowie zdrowia, za co serdecznie dziękuję.

Chciałabym podkreślić jedną rzecz. Szanowni państwo, w sierpniu 2021 r. zatwierdzono „Plan dla chorób rzadkich". Mamy rok 2024. W tamtym czasie nie wdrożono nic. Nic. Siedzą tu eksperci, szefowie tych ośrodków. Proszę nie patrzeć na mnie, bo to jest wiedza, którą ja mam od nich. Nie patrzę tu na ośrodki onkohematologii dziecięcej, bo one też zajmują się chorobami rzadkimi, ale to nie jest ta bajka, która powoduje, że przed chwilą nawet przekazałam pani profesor pacjenta 8-miesięcznego, który nie przespał ani jednej nocy i pewnie ma chorobę rzadką. To jest gehenna jaką przechodzą ci pacjenci i te dzieci.

Kłaniam się nisko ministerstwu, bo to, co zrobiliście do tej pory w niespełna trzy miesiące, to jest bardzo dużo. Oby tylko utrzymać to tempo, to wtedy ja sama będę szczęśliwa jako poseł, bo przestaną do mnie pisać po ratunek, a przede wszystkim szybkie rozpoznanie u małego dziecka pozwala już niektóre choroby rzadkie wyleczyć.

Widzę pana ministra Miłkowskiego. Ja mam pytanie do pana ministra, który cichutko tam siedzi, o to, co z leczeniem, bo wszystkie etapy zostały ślicznie… Że ta genetyka idzie do przodu, że eksperckie ośrodki się wyłaniają. Obawiam się, że może być ich trochę mało, jeśli kryterium będzie tylko włączenie w sieć europejską, że trzeba zrobić tego trochę więcej. Sama to wiem – tych naszych dzieci jest dużo mniej, a jest nas 20 ośrodków eksperckich, więc patrząc na to, to chyba jakieś kryterium jeszcze trzeba wymyślić.

Panie ministrze, proszę powiedzieć, co będzie z refundacją leków. Czy zakończą się zbiórki ciężkich milionów, bo to jest terapia droga? Nie można firm namówić, jeśli na całym świecie choruje dziesiątka dzieci, żeby produkowały dla tej dziesiątki leki tanio. Czy będą jakieś ścieżki ratujące życie tych pacjentów, czy są i co się w ogóle dzieje w refundacji leków w chorobach rzadkich? Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dziękuję. Pan poseł Hoc.

Poseł Czesław Hoc (PiS):

Dziękuję, panie przewodniczący. Oczywiście z wielką przykrością i taką przykrą konstatacją reaguję na głos pani profesor i mogę od razu odpowiedzieć pani profesor na pytanie co zrobiono. Nic?

Tak więc, pani profesor, jeśli chodzi o SMA, rdzeniowy zanik mięśni, jesteśmy w Europie liderem, obok Norwegii, Niemiec i Belgii w genowej terapii SMA. Mamy refundację Zolgensmy, najdroższego leku świata, za 9,5 mln zł. Mamy również refundację nusinersenu i risdiplamu. Pani profesor, jeśli pani o tym nie wie, to proszę się jeszcze douczyć i poinformować o tym…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Panie pośle, do rzeczy.

Poseł Czesław Hoc (PiS):

Po drugie. Druga choroba – mukowiscydoza. Mamy rewolucyjny przełom w leczeniu mukowiscydozy, albowiem refundujemy leki, regulatory białka CFTR.

Mało tego, w SMA, czyli w rdzeniowym zaniku mięśni, mamy już przesiewowy program. Każdego noworodka przesiewamy, badamy screeningowo w aspekcie wykrycia od razu choroby rdzeniowego zaniku mięśni. I to jest nic, pani profesor?

A mam wymienić pani jeszcze pierwotną hiperoksalurię, rodzinną cholestazę wewnątrzwątrobową? Mogę jeszcze inne wymienić. Te, na które są refundowane leki, które weszły właśnie w aspekcie tej nowej technologii o wysokiej innowacyjności. I to jest nic? Proszę więc…

Nawiążę również do wypowiedzi pani minister Leszczyny w aspekcie Krajowej Sieci Onkologicznej, którą też opóźniliście o rok – zaraz nawiążę do „Planu dla chorób rzadkich" – i pani Leszczyna też powiedziała, że nic nie zabrano w tym momencie…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Panie pośle, tematem dzisiejszego posiedzenia nie jest Krajowa Sieć Onkologiczna.

Poseł Czesław Hoc (PiS):

Panie przewodniczący, proszę pozwolić dokończyć. Pani minister powiedziała wówczas, że nic nie zrobiono, a my zrobimy 10 razy więcej. Jeśli 10 razy więcej pomnożymy przez nic, to jest nadal nic. Pani profesor, jak pani może tak powiedzieć, że nic nie zostało zrobione….

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Panie pośle, do rzeczy.

Poseł Czesław Hoc (PiS):

To jest naprawdę niegodne zachowanie, tym bardziej lekarza. Teraz, jeśli chodzi o „Plan dla chorób rzadkich". Rzeczywiście „Plan dla chorób rzadkich", wykaz w 2023 r. Przez 100 dni – właśnie teraz powiem – nie zrobiliście nic. Nie zrobiliście nic przez 100 dni, bo pani minister 29 lutego, a więc w Światowym Dniu Chorób Rzadkich, ogłosiła, że do końca 2024 r. będziecie wdrażać pewne kwestie, jeśli chodzi o „Plan dla chorób rzadkich". Czyli tutaj rzeczywiście nie zrobiliście nic.

Pani profesor, chciałbym pani zapytać, co zrobiono przez 100 dni, bo pani mówi, że wreszcie dziękuje, że w ciągu trzech miesięcy tyle zrobiono. Co zrobiono? 46 ośrodków OCR-ów, czyli ośrodków eksperckich chorób rzadkich powołano już dawno. Jest połączenie z międzynarodową siecią ekspertów, bo jest taka zasada w chorobach rzadkich w kwestii wymiany informacji międzynarodowej, że podróżuje nauka, wiedza, a nie pacjent. To też dla wiedzy pani profesor.

Proszę państwa, są pewne granice uczciwości, przyzwoitości i też pewne granice mówienia prawdy. W takim razie ja powiem w ten sposób, że opóźniliście o rok Krajową Sieć Onkologiczną, przedłużyliście jej wejście w życie, a teraz opóźniacie „Plan dla chorób rzadkich", a więc zabijacie nadzieję tych dzieci, które są najczęściej bardzo ciężko chore, bo to są najczęściej choroby uwarunkowane genetycznie. Zabijacie nadzieje rodziców i szczęście w aspektach tej nadziei, że można pomóc tym dzieciom z chorobami rzadkimi. Chorobami rzadkimi i lekami sierocymi.

Nie będziemy tutaj burzyć takiej narracji, że nie zrobiono nic, bo proszę uderzyć się w pierś i praktycznie pozwolić tutaj zadziałać takiemu wymiarowi aksjologicznemu, żebyście naprawdę przestali już mówić o tej nicości. Jeszcze raz powtarzam, bo nie chcę już tutaj pewnych kwestii uogólniać, ale proszę spojrzeć na siebie. Jeśli rzeczywiście pani profesor widzi, że ten rząd w ciągu trzech miesięcy zrobił tak wiele, to proszę mi powiedzieć konkretnie, co zrobił w ciągu trzech miesięcy.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Pytanie wybrzmiało. Dobrze. Dziękujemy. Teraz pani poseł Kozłowska.

Poseł Iwona Kozłowska (KO):

Panie przewodniczący, panie ministrze, Wysoka Komisjo, do wypowiedzi mojego poprzednika wkradło się wiele nieścisłości. Po pierwsze, może tak historycznie sobie ustalmy, jaka była kolejność wydarzeń, jeżeli chodzi o dzieci z SMA. Od 1 kwietnia 2021 r. rozpoczęły się w całej Polsce badania przesiewowe dla dzieci z podejrzeniem o SMA. Noworodków. Od 1 września 2022 r. rzeczywiście dzieci, u których stwierdzono SMA, otrzymują terapię genową, ale do szóstego miesiąca życia, więc proszę... Do szóstego miesiąca życia…

Poseł Czesław Hoc (PiS):

Od szóstego. To były zalecenia lekarskie...

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Proszę o nieprowadzenie dyskusji między sobą. Pani poseł Kozłowska, nie ma pani włączonego mikrofonu, bo ja go pani wyłączyłem. Proszę nie prowadzić dyskusji między sobą, tylko wygłosić swoje pytanie, czy spostrzeżenia i po kolei posłowie będą się wypowiadali. Nie będzie awantur na posiedzeniu Komisji Zdrowia. Pani poseł Kozłowska, włączam pani mikrofon.

Poseł Iwona Kozłowska (KO):

Czy już mogę? Od urodzenia, czyli od momentu, kiedy dziecko przychodzi na świat i jest przeprowadzone badanie przesiewowe, do szóstego miesiąca jest podawana terapia genowa… No więc ja o tym mówię. Czyli do 6 miesięcy. A co z pozostałymi dziećmi, które przecież też miały badania przesiewowe rok wcześniej? Te dzieci, które się wcześniej urodziły, nie otrzymują terapii genowej, ponieważ przekroczyły ten szósty miesiąc życia. Patrzyliście pod kątem wagi, pod kątem miesięcy, które dzieci miały i niestety podzieliliście te dzieci na te, które otrzymują terapię genową i na te, które tej terapii genowej nie otrzymywały. Wprowadziliście opinię publiczną w błąd, bo rodzice tych starszych dzieci, które były i z przesiewu i bez przesiewu, bo nie wszystkie się „załapały" na te badania przesiewowe, zbierali do puszek datki na najdroższy lek świata Zolgensmę, czyli prawie 10 mln zł. Co wtedy się wydarzyło, kiedy ogłosiliście szumnie, że jest podawana terapia genowa za 10 mln zł? Ludzie przestali dawać pieniądze na te zbiórki…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Pani poseł, proszę zmierzać do finału wypowiedzi.

Poseł Iwona Kozłowska (KO):

Tak, już zmierzam. Co się wydarzyło 18 marca tego roku? Mianowicie pojawiło się obwieszczenie w Dzienniku Urzędowym Ministerstwa Zdrowia dotyczące refundacji leków dla chorób rzadkich. I to właśnie w tym momencie jest to skierowane do dzieci i do rodzin, które posiadają dzieci z SMA, bo od 1 kwietnia będzie refundowana terapia dla wszystkich dzieci. Nie tylko dla tych, które są badane po urodzeniu, ale również dla tych starszych, które się wcześniej urodziły. Teraz ta terapia genowa będzie rzeczywiście prowadzona sprawiedliwie. Nie będzie wykluczania tych, które się nie „załapały" na wasze propozycje, ale będzie to terapia genowa, która będzie dotyczyła wszystkich dzieci, również tych, które jeszcze zbierają pieniądze do puszek.

Tutaj bardzo chciałabym podziękować Ministerstwu Zdrowia za szybką reakcję i realizację obietnicy. Do ministerstwa zostało przekazanych 50 mln na terapię genową dla dzieci. Ministerstwo przygotowało odpowiedni program i będzie to realizowane dla wszystkich dzieci. Bardzo dziękuję Ministerstwu Zdrowia za tak szybkie zrealizowa-

nie tej obietnicy i objęcie wszystkich dzieci terapią genową na rdzeniowy zanik mięśni. Bardzo dziękuję.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):
Dziękuję bardzo. Pani poseł Leniart.

Poseł Ewa Leniart (PiS):
Szanowny panie przewodniczący, szanowni państwo, chciałabym zapytać o działania, które ewentualnie zamierza podjąć Ministerstwo Zdrowia w kontekście zwiększenia liczby specjalistów genetyki klinicznej, bo wiemy, że jest ich niespełna 150. Natomiast jest tak, że w sześciu województwach nie ma ani jednego lekarza, który by w tym zakresie się specjalizował, co na pewno utrudnia także możliwości diagnostyczne i w konsekwencji samo leczenie pacjentów z chorób rzadkich. Chciałabym o to zapytać. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):
Dziękuję bardzo. Pan poseł Cieszyński.

Poseł Janusz Cieszyński (PiS):
Dziękuję bardzo. Szanowna pani minister, mam takie pytanie na dzisiaj, takie bardzo praktyczne dla pacjentów, gdzie dzisiaj pacjenci powinni szukać wsparcia, jeżeli szukają informacji, jeżeli właśnie szukają leczenia w chorobach rzadkich. Myślę, że tutaj było to bardzo dobrze wyjaśnione, że to są skomplikowane przypadki, ale myślę, że wiele osób szuka po prostu wsparcia w tych trudnych momentach. Dokąd one powinny się zwrócić?

Drugie pytanie mam do pana ministra Miłkowskiego też w nawiązaniu do pytania, które było przed chwilą. Jeśli pan minister Miłkowski mógłby przedstawić, jak to było ze wskazaniami refundacyjnymi dla Zolgensmy i jakie były powody zmian, które zostały wprowadzone. Jakie to dokładnie są zmiany, które teraz były wprowadzone, dlatego że mam wrażenie, że pani poseł Kozłowska trochę poszerzająco to objęła, a wydaje mi się, że do wszystkich z nas docierają takie sygnały, prośby o wsparcie w tej bardzo trudnej sytuacji? Myślę, że warto w sposób merytoryczny, zrozumiały dla każdego, kto może być tym zainteresowany, o tym powiedzieć, tak żeby rodzice dokładnie wiedzieli, jakie są dzisiaj, czy też po tych zmianach, które zostały zaprezentowane, warunki dostępu i w jaki sposób one się zmieniły. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):
Dziękuję bardzo. Pan poseł Pietrykowski.

Poseł Norbert Pietrykowski (Polska2050-TD):
Panie przewodniczący, pani minister, chciałem zwrócić uwagę na wykaz tych ośrodków eksperckich, bo rzeczywiście to są wysoko specjalistyczne badania enzymatyczne i to jest sprawa taka, żebyśmy nie wylali tego dziecka z kąpielą, żeby tych środków rzeczywiście nie było dużo. Chodzi o to, że to są badania naprawdę rzadkie, które powinny wykonywać wyłącznie specjaliści z dziedziny genetyki medycznej. Nie chciałbym, żebyśmy to spłaszczyli i żeby to trafiło do wielu szpitali, żeby każdy się za to brał czy jest specjalistą, czy nie jest specjalistą. Wyselekcjonowanie tych ośrodków w przypadku tych badań jest niezwykle ważne, i żeby tam rzeczywiście była kadra specjalistów. Tak więc taka ogromna prośba, bo jak mówię, za chwilę to trafi do laboratoriów powiatowych, które też będą się rzucały, żeby to oczywiście robić, bo każdy będzie chciał to robić, ponieważ to jest związane z finansowaniem. To taka ogromna prośba. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):
Dziękuję bardzo. Pani poseł Sójka.

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):
Bardzo serdecznie dziękuję. Panie przewodniczący, szanowni państwo, muszę tak zacząć, bo trochę niesmaczne, niegrzeczne, nieładne były słowa ze strony pani poseł Chybickiej i pani poseł Kozłowskiej.

Szanowni państwo, choroby rzadkie to bardzo trudne choroby. Dochodziliśmy bardzo długo do tego, co dzisiaj mamy w „Planie dla chorób rzadkich” i w ogóle w terapiach dla chorób rzadkich. Wiele grup włożyło bardzo dużo pracy do tego, abyśmy osiągnęli te

sukcesy, którymi dzisiaj na pewno można się pochwalić, a o których czytamy też w informacji Ministerstwa Zdrowia. Dlatego może spróbujmy jakoś nie włączać jednak takich oszczerstw, manipulacji.

Kampania już się odbyła. Jesteście państwo teraz w koalicji, która rządzi i może tutaj, na posiedzeniu Komisji Zdrowia właśnie w elemencie pracy w ochronie zdrowia wyłączmy się z tych tematów takich oszczerstw i manipulacji, i po prostu pracujmy dzisiaj dla pacjentów właśnie w chorobach rzadkich. To naprawdę jest niesmaczne, niegrzeczne i nieprzyjemne, żeby nie doceniać tego, co się wydarzyło.

A żeby powiedzieć inaczej, gdybyście państwo nie widzieli, ile dobrego i jak dużo się zmieniło za czasów rządów Prawa i Sprawiedliwości właśnie w ramach chorób rzadkich, to pewnie nie zostawilibyście w ministerstwie pana ministra Miłkowskiego, który właśnie nad refundacją tych leków i nad chorobami rzadkimi pracował. Uznaliście, że rzeczywiście dużo się wydarzyło. W kwestii refundacji leków znalazły się pieniądze na ogromne refundacje. Powstał „Plan dla chorób rzadkich" i pan minister w ministerstwie, jak uznaliście, powinien dalej zostać, a za to odpowiadał. Myślę więc, że to jest tylko nota na to, że te rzeczy, które za czasów naszych rządów się wydarzyły, na pewno są pochwalne.

Pani poseł Kozłowska akurat wyszła i nie jest zainteresowana, ale chciałabym… No to poczekam może z tą informacją jak wróci. Natomiast dosyć istotne jest to, co ona powiedziała na temat leczenia SMA, ale może wrócę do początku…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Nie ma obowiązku…

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

W materiale ministerstwa jest dużo informacji, co się wydarzyło. „Plan dla chorób rzadkich" to naprawdę duże osiągnięcie dla pacjentów, którzy chorują na choroby rzadkie, których, jak wiemy, jest bardzo dużo, a jeszcze wiele jest nierozpoznanych. W ostatnim czasie, w październiku, ruszyła również platforma dla chorób rzadkich. Niedawno też, chyba w okolicy Dnia Kobiet, wybrzmiały słowa pani minister Izabeli Leszczyny, która powiedziała, że od czerwca ubiegłego roku nikt w ministerstwie nie pracował. Absolutnie to nie jest prawda i chociażby ta platforma dla chorób rzadkich jest tego przykładem.

Wspaniałym przykładem jest również pani, która jest aktualnie zastępcą dyrektora Departamentu Lecznictwa, a która dzisiaj tu z nami jest i zabierała głos, pani Dominika Janiszewska-Kajka , która naprawdę tym tematom poświęcała ogrom swojego czasu, poświęcała dużo swojej energii i naprawdę pracowała. Dlatego myślę, że dzisiaj nie warto rzucać takich oszczerstw w wielu kierunkach, bo to na pewno zdrowiu i pacjentom przede wszystkim nie będzie służyło.

Tak więc ta platforma, która w październiku została uruchomiona, to jest właśnie bardzo dobry przykład, w jaki sposób można zgrupować pewne informacje. Lekarze z tej platformy korzystają i pacjenci korzystają i różne osoby mogą tam uzyskać informacje. To jest właśnie jeden z wielu setek przykładów zaangażowania i pracy pracowników Ministerstwa Zdrowia, którzy absolutnie od czerwca i nie tylko, bo również przed czerwcem, cały czas naprawdę w ministerstwie ciężko pracują, i nie godzę się na to, aby takie słowa padały.

Szanowni państwo, mam również pytania, ale przykładem na to, co się zmieniło, są też te kwoty z Funduszu Medycznego, które tutaj są wymienione, między innymi dla pacjentów z chorobami rzadkimi. Jeśli dobrze widzę, w sumie przez te lata jest to 809... Dobrze mówię?

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dobrze. Za chwilę tym się zajmiemy.

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

Prawie miliard złotych. To są pieniądze, które trafiły do pacjentów na te leki, które ratują im życie i dają im nadzieję. Nie ma pani poseł, nie wróciła, ale o SMA. Dwudziestego…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Pani poseł, miała pani zadać pytanie.

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

Tak. Do tego zmierzam. W październiku 2022 r. odbyło się posiedzenie Komisji Zdrowia, na którym bardzo jasno było powiedziane, co się zmieniło w ramach leczenia pacjentów, którzy chorują na SMA. Właśnie wtedy powiedzieliśmy o tym, że zostały wprowadzone odpowiednie leki, o których już tutaj była mowa. Mamy lek Zolgensma, ten najdroższy lek świata. Mamy lek refundowany nusinersen. O! Jest pani poseł. Mamy trzy leki, które tak naprawdę zostały objęte refundacją, które służą pacjentom.

Na tym posiedzeniu Komisji w 2022 r. pani profesor Anna Kostera-Pruszczyk, która zajmuje się wszystkimi pacjentami chorującymi na SMA, bardzo dobrze wyjaśniła, w jaki sposób są stosowane leki, jak one funkcjonują dla pacjenta, więc zabranie głosu przez panią poseł jest w pewnym sensie niesłuszne. Pacjenci, którzy mogą korzystać dzisiaj z leku Zolgensma i z leku do szóstego miesiąca życia, korzystają z tego według zaleceń producenta. Producent zaleca dokładnie tak, w jaki sposób dzisiaj określiliśmy refundację. Inni pacjenci, którzy są starsi, mają inną masę ciała, korzystają z innych leków i pani profesor Anna Kostera-Pruszczyk, o ile dobrze pamiętam – można wrócić do tego posiedzenia Komisji – bardzo dobrze wyjaśniła, w jaki sposób pacjenci mogą z leków korzystać, że wszyscy są „zaopiekowani" i że jest określona skuteczność tych leków dla pacjentów. I ona mówi o tym, że jeśli pacjent nie „załapał się" na ten lek refundowany tak jak zaleca go producent, to korzysta z kolejnych leków, które dają mu podobne szanse…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Czy możemy zmierzać do pytania?

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

Myślę, że nie będziemy i nie powinniśmy podważać słów, decyzji, zdania i opinii specjalistów, którzy zajmują się pacjentami chorującymi na SMA, którzy ich badają, ich obserwują i ich po prostu leczą. Myślę więc, że warto było tak uczciwie podejść do tego tematu…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dziękuję bardzo.

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

…a na temat chorób rzadkich po prostu się nie kłócić. I mam pytania.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Już pani startowała z tymi pytaniami.

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

Pierwsze pytanie, to jest… Ja rozumiem, panie przewodniczący. Ja wiem, że bardzo pana denerwuje, gdy posłowie Prawa i Sprawiedliwości zabierają głos, ale proszę nie przerywać…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Czy może pani zadać pytania?

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

Pan przewodniczący nigdy nie przerywa posłom Platformy Obywatelskiej. Ja wiem, że dużo gadania, ale to jest... Ja wiem, że może nie podobać się, że...

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Czy pani może zadać pytania?

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

…strasznie dużo gadania, ale macie państwo bardzo nieładny zwyczaj przerywania wszystkiego, co wam nie pasuje w naszych…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Starałem się uczyć od Terleckiego, ale nie dorastam mu do pięt. Proszę do pytań.

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

Panie przewodniczący, jako kobieta może nie będę komentować pana zachowania, czy jest pan dżentelmenem czy nie, ale proszę nam nie przerywać. Jeśli pan chce przegrywać, to proszę się uczyć…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Proszę zmierzać do zadania pytania, bo odbiorę pani głos. Proszę zadać pytanie.

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

…na posłach Platformy Obywatelskiej. Proszę mi dać dokończyć. Mam więc dwa pytania.

Pytanie pierwsze, dotyczące Funduszu Medycznego. Jaki jest dalszy plan? Jakie środki są przewidziane? Jak to będzie wyglądało w dalszej refundacji tych bardzo drogich leków dla poszczególnych pacjentów? Czy jest jakiś plan na poszerzenie tych leków? No wiemy, że pewnie jest, ale jak to wygląda.

I drugie moje pytanie. Czy są programy lekowe w chorobach rzadkich, do których nie zgłosił się żaden pacjent, czyli pacjenci, którzy w ogóle nie mieli potrzeby skorzystać z takich programów? Czy są takie programy?

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dziękuję bardzo.

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

Dziękuję za możliwość zadania pytań, panie przewodniczący. Wyjątkowa uprzejmość.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Gdyby tak było od początku, byłoby nam łatwiej. Pani poseł Skowrońska.

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):

Mam następujące pytania. Wszyscy pamiętamy, jak wyglądała debata na temat SMA w poprzedniej kadencji i jakie były zalecenia producenta na rynek polski, a jakie zalecenia…

Poseł Katarzyna Sójka (PiS):

Tak, pani poseł. Przedstawiała to pani profesor. To wszystko przedstawiała pani profesor na posiedzeniu tej Komisji, specjalistka w dziedzinie…

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):

Pani poseł Sójka, pani przewodnicząca, ja pani nie zadaję pytań. Cieszę się ze stosowania nowego rozwiązania finansowania SMA, o czym mówiła pani poseł Kozłowska. A teraz chciałabym zadać pani minister pytania następujące. Jak państwo oceniacie, ile pieniędzy dodatkowo potrzeba na leczenie chorób rzadkich, a jak wygląda plan finansowy na dzisiaj? Ile mamy pieniędzy? Ile, zdaniem państwa, potrzeba?

Odnośnie do SMA – to, co pani poseł Sójka mówiła – zgadzam się z panią poseł Kozłowską, bo było bardzo wiele zaleceń albo stosowania przez lekarzy tego leku i było skutecznie. Gdyby to było nieskutecznie zastosowane na polskim rynku, to na pewno byłby określony sposób postępowania w stosunku do podmiotów, które używają takiego leku i zalecają pacjentom.

To jest moje główne pytanie. Ile mamy niezdiagnozowanych, ile mamy zdiagnozowanych a brakuje na to środków i jak szybko państwo próbujecie pokazać, że osoba z chorobą rzadką może dostać wsparcie w leczeniu. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dziękuję bardzo. Pan poseł Kapinos.

Poseł Fryderyk Kapinos (PiS):

Szanowny panie przewodniczący, państwo ministrowie, Wysoka Komisjo, ja chciałbym na początku przywołać ustawę o wykonywaniu mandatu posła i senatora i art. 14, wykonywanie obowiązków poselskich. Poseł w szczególności ma prawo wyrażać swoje stanowisko oraz zgłaszać wnioski w sprawach rozpatrywanych na posiedzeniach Sejmu i jego

organów, a również – pkt 6 mówi – uczestniczyć w dyskusji nad sprawami rozpatrywanymi przez Sejm lub komisje sejmowe.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):
Właśnie panu czas mija.

Poseł Fryderyk Kapinos (PiS):
Panie przewodniczący, jeżeli pana czas goni, to może należy zrobić dzień wcześniej lub dzień później…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):
Proszę zmierzać do zadania pytania w sprawach chorób rzadkich.

Poseł Fryderyk Kapinos (PiS):
Panie przewodniczący, wczoraj było posiedzenie podkomisji pani poseł Szczurek-Żelazko do spraw organizacji ochrony zdrowia. Wszyscy mieli czasu, ile…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):
Panie pośle, proszę zmierzać do zadania pytania w sprawie chorób rzadkich.

Poseł Fryderyk Kapinos (PiS):
Pan łamie regulamin.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):
Proszę poinformować o tym odpowiednie instytucje a teraz zadać pytanie w sprawie chorób rzadkich.

Poseł Fryderyk Kapinos (PiS):
Powiadomimy.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):
Bardzo proszę.

Poseł Fryderyk Kapinos (PiS):
Chciałbym przede wszystkim podziękować tym, którzy pracowali nad tymi wszystkimi chorobami rzadkimi, ale również zapytać, jeżeli chodzi o kadry, które są szkolone, kształcone, jeżeli chodzi o specjalizację. Na Podkarpaciu ani jedna osoba nie jest kształcona, nie podjęła specjalizacji, jeżeli chodzi o choroby rzadkie. Już tu pani poseł Leniart o tym mówiła. Jaki pomysł ma ministerstwo na to, żeby w takich województwach jak podkarpackie uruchomić specjalizację, jeżeli chodzi o choroby rzadkie.

Chciałbym również zapytać, ile środków z Funduszu Medycznego zostało wydatkowanych na leczenie, na diagnostykę i na leki w chorobach rzadkich, i również, ilu pacjentów objęto właśnie leczeniem z tego Funduszu Medycznego. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):
Dziękuję bardzo. Pan poseł Lubczyk.

Poseł Radosław Lubczyk (PSL-TD):
Dziękuję, panie przewodniczący. Mam takie pytanie. Pani minister powiedziała, że rzeczywiście tych chorych nie jest wcale tak mało, bo to jest w Polsce około 2-3 mln osób, czyli bardzo dużo. Wiemy, że większość tych chorób, o których wiemy, tak naprawdę leczonych jest objawowo. Jest więc pytanie chociażby o taką chorobę jak achondroplazja, na którą leczenie jest znane, ale dzisiaj nie ma refundacji. Pytanie brzmi, kiedy się dowiemy o chorobach, w przypadku których znamy ich powód, znamy leczenie i możemy wyleczyć te dzieci. Kiedy powstanie taka lista w tych chorobach, które są zdiagnozowane i znamy leczenie, zapisane w refundacji?

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):
Dziękuję. Pani poseł Szczurek-Żelazko.

Poseł Józefa Szczurek-Żelazko (PiS):
Szanowni państwo posłowie, szanowni goście, ja bardzo dziękuję za tę dyskusję na temat tych wszystkich wydarzeń, które miały miejsce, aby wspierać i pomagać osobom dotkniętym chorobami rzadkimi. Ostatnie lata to jest naprawdę bardzo dobry czas dla tych

pacjentów. Nawet z państwa informacji, którą przedstawiło Ministerstwo Zdrowia na piśmie, wynika wprost, że bardzo szybko, po pierwsze, rośnie liczba leków, które są refundowane, po drugie, wielkość środków przeznaczonych na refundowanie leczenia w chorobach rzadkich.

Dlatego też z wielką przykrością, zażenowaniem i niesmakiem przyjęłam wypowiedź pani profesor, pani poseł Chybickiej, ponieważ wypowiadanie takich słów w sytuacji, kiedy Polska w ciągu kilku lat stała się jednym z liderów, jeżeli chodzi o leczenie chorób rzadkich w Europie… Przypomnę, że jeżeli chodzi o SMA, o którym pani poseł poprzedniczka mówiła, jesteśmy na czwartym miejscu po takich krajach jak Niemcy, Norwegia, Belgia, czyli najbardziej rozwiniętych cywilizacyjnie i najbardziej bogatych krajach. Polska zajmuje czwarte miejsce. Również jeżeli chodzi o leczenie mukowiscydozy i wielu różnych innych chorób. Naprawdę zrobiliśmy ogromny postęp w ciągu ostatnich 8 lat, więc wypowiadanie takich słów to jest celowe sianie zamętu, dezinformowanie społeczeństwa polskiego i niegodne po prostu lekarza i posła Rzeczypospolitej…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Czy możemy do pytania…?

Poseł Józefa Szczurek-Żelazko (PiS):

Dlatego chciałabym jednak, aby Ministerstwo Zdrowia jeszcze raz bardzo wyraźnie powiedziało, jak wygląda kwestia leczenia chorób rzadkich, jakie preparaty są refundowane i jakie badania są wykonywane. Czy takie leki i badania są wykonywane we wszystkich krajach Unii Europejskiej i jakie środki są przeznaczane na leczenie chorób rzadkich? To są niezwykle ważne informacje i proszę o ich przedstawienie.

Z drugiej strony, po wypowiedzi pani poseł Chybickiej, proszę również o szczegółową informację, jakie działania podjął obecny rząd w ciągu 100 dni właśnie między innymi w obszarze… Konkretnie. Konkretne przykłady, za które pani poseł Chybicka dziękowała. Jakie działania podjął obecny rząd, aby poprawić sytuację pacjentów z chorobami rzadkimi?

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dziękuję bardzo. Ja teraz mam pytanie. Lista posłów zapisanych do głosu wyczerpana. Ja zapisuję się na ostatnim miejscu. Z panem ministrem Miłkowskim chciałbym zamienić kilka słów, jeśli... Lista posłów została wyczerpana. Pan poseł miał już głos. Pan poseł już zabierał głos. Dziękuję bardzo. Teraz ja zadaję pytanie.

Panie ministrze, w materiale, które przekazaliście, na ostatniej stronie jest zestaw sześciu leków które były finansowane z Funduszu Medycznego. Z Funduszu Medycznego na te leki wydano 800 mln zł. I to bardzo dobrze, podkreślam. Bardzo dobrze, że choroby rzadkie są leczone, ale też trzeba patrzeć na wszystko z każdej strony.

W normalnym trybie fundacyjnym jest tak, że koncern składa ofertę refundacyjną. Prowadzone są negocjacje. To wszystkie jest oceniane przez Komisję Ekonomiczną. Opisane jest to wszystko ustawą refundacyjną. Nie chcę wchodzić w szczegóły. Wszyscy, którzy to wiedzą, po prostu to wiedzą.

Z drugiej zaś strony, został stworzony specjalny mechanizm finansowania – ja nie oceniam, których leków, tylko na razie mówię o mechanizmie finansowym – który pozwala określonym koncernom na wychodzenie kompletnie spoza systemu refundacyjnego. Czyli są koncerny, których 99,99% musi przystąpić do procesu refundacyjnego i stworzono specjalną ścieżkę wydania 800 mln zł bez procesu refundacyjnego.

Ja mam pytanie do pana, panie ministrze, bo rozumiem, że pan zajmował się tymi sprawami, kto i zgodnie z jaką procedurą zakwalifikował sześć konkretnych leków, bo przecież leków na choroby rzadkie jest bardzo, bardzo dużo. Wszyscy wiemy, że one są bardzo drogie, najczęściej trudno dostępne, trudno osiągalne. Ale powstała lista sześciu leków. Chciałbym zapytać, na podstawie jakiej procedury stworzono tę listę. Jakie działania podejmowało ministerstwo, żeby skutecznie wprowadzić te koncerny produkujące te leki w formalny, zgodnie z ustawą i przejrzysty, proces refundacyjny?

To są pytania, na które odpowiedzi paść muszą, dlatego że jeśli stworzymy taki ewenement, że tworzymy oddzielną, niekontrolowaną ścieżkę finansowania określonej grupy leków, to powstaje pytanie, czemu jedne koncerny muszą wchodzić

w refundację, a drugie pod jakąś presją – nie wiem, jaką, nie opisuję tej presji, ale jakąś presją – są finansowane w sposób kompletnie inny, w mojej ocenie nie do końca przejrzysty, chyba że się mylę. Dlatego zadaję to pytanie.

Chciałbym się dowiedzieć, jak wygląda procedura występowania o zakup tych leków od koncernów. Jak to się dzieje, że na tej liście sześciu leków – bardzo proszę o ciszę na sali.. Ja zaraz dojdę do brzegu, pani poseł.

Panie ministrze, tak się składa, że te 800 mln, które wydajemy w trybie poza refundacyjnym, dotyczy tak naprawdę dwóch koncernów. A tak naprawdę dotyczy jednego koncernu, bo z tych 800 mln zł 733 wydano jakby w kontaktach z jednym koncernem, 66 z drugim i 10 z pozostałymi. Ja bym chciał wiedzieć, kto kwalifikował tę listę i na podstawie jakich procedur i w jaki sposób ministerstwo sprawowało realny nadzór nad wydaniem tych ogromnych środków, skądinąd na bardzo potrzebne cele. Podkreślam to bardzo wyraźnie, cel jest bardzo potrzebny, ale musimy znać zasady.

Bardzo proszę, panie ministrze. Panią minister też proszę o udzielenie odpowiedzi na pytania posłów. Ja z wielką uwagą będę czekał na odpowiedź pana ministra Miłkowskiego.

Pani poseł, bardzo proszę, ale teraz odpowiada minister. Może pani naprawdę prosić, ja to uznaję, a teraz odpowiada minister.

Podsekretarz stanu w MZ Urszula Demkow:

Bardzo dziękuję. Ja postaram się odpowiedzieć na wszystkie pytania, poza pytaniami lekowymi, na które odpowie pan minister Miłkowski, a pytania o pieniądze podsumuje pani dyrektor. Taki będzie nasz podział pracy.

Pierwsze pytanie dotyczyło harmonogramu prac. Mamy przygotowany harmonogram na lata 2024-2025, gdzie każde zadanie ma przypisany swój określony czas. W ten harmonogram już się wpisujemy… Jeśli się nie uda, to będziecie państwo na nas krzyczeć.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Pani minister, proszę odpowiadać na pytania, nie wchodzić w dyskusję. Trzeba w sobie tę umiejętność wyrobić, żeby nie słyszeć tego, co „leci” z sali i odpowiadać na pytania.

Podsekretarz stanu w MZ Urszula Demkow:

To nawyki profesora – odpowiada na każde pytanie studenta, ale muszę się oduczyć. Pytanie nr 2, ośrodki eksperckie, żeby ich było więcej. My też oczywiście bardzo byśmy sobie tego życzyli. Natomiast ośrodki eksperckie z definicji muszą spełniać dwa kryteria. Po pierwsze, kryterium jakości opieki, a po drugie, kompleksowości opieki. Jeżeli więc kolejne ośrodki będą spełniały te kryteria, to będziemy z wielką radością przyjmować takie kolejne ośrodki.

Dzieci z SMA – na to odpowie pan minister. Liczba specjalistów z genetyki klinicznej. To jest bardzo ważne pytanie. Rzeczywiście tych specjalistów jest za mało. Jest troszkę ponad 140 specjalistów z genetyki klinicznej i naszą odpowiedzią na to jest nadanie rangi specjalizacji priorytetowej genetyce klinicznej. Tak jak istnieją inne specjalizacje priorytetowe, żeby również ta została specjalizacją priorytetową.

Natomiast chciałabym podkreślić, że chorych na choroby rzadkie leczą nie tylko specjaliści z genetyki klinicznej, bo choroby rzadkie nie wszystkie mają podłoże genetyczne, a te, które mają podłoże genetyczne, z reguły przynależą do jakiejś grupy zespołów chorób. Najwięcej chorób rzadkich wpada w kategorię neurologia dziecięca. Również specjalistów z neurologii dziecięcej… Będziemy zachęcać do podejmowania tej specjalizacji.

Jednak choroby rzadkie są w nieomal każdej specjalizacji, więc co jest tutaj potrzebne? Po pierwsze, uwrażliwienie lekarzy pierwszego kontaktu, szczególnie pediatrów, ale także lekarzy rodzinnych, lekarzy chorób wewnętrznych, na to, że istnieją te choroby rzadkie i żeby też pod tym kątem patrzyli na swoich pacjentów. No i generalnie ważne jest też to, żeby wiedzieli, gdzie takiego pacjenta skierować, gdzie taki pacjent…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Pani minister, na sekundę przerwę. Bardzo proszę o ciszę na sali. Jeśli ktoś ma jakieś sprawy do załatwienia, jest przestronny korytarz. Bardzo proszę, pani minister… To pani

sobie sprawdzi w kalendarzu. Jeśli chce pani o tym pogadać, to zapraszam na korytarz. Pani minister.

Podsekretarz stanu w MZ Urszula Demkow:

Pytanie pana ministra Cieszyńskiego dotyczące tego, gdzie dziś pacjenci powinni szukać pomocy. Jak to wygląda? To jest rzeczywiście bardzo duży problem, dlatego że pacjenci z chorobami rzadkimi mają jakby takie dwa problemy, jeśli chodzi o pomoc. Po pierwsze, postawienie właściwej diagnozy, a po drugie, jeżeli już ta diagnoza zostanie postawiona, skierowanie pacjenta tam, gdzie znajdują się osoby kompetentne do udzielania tej pomocy.

Jeśli chodzi o diagnozę – co już raz powiedziałam i jeszcze raz chciałabym podkreślić – zwiększenie świadomości istnienia chorób rzadkich u lekarzy różnych specjalności, przede wszystkim u lekarzy rodzinnych, lekarzy pediatrów, którzy jako pierwsi z tymi pacjentami się stykają. Tak więc jakaś nasza działalność edukacyjna powinna być skierowana również do tych grup, żeby oni te choroby rzadkie mieli gdzieś w pamięci.

Po drugie, pacjenci powinni szukać wsparcia u tych specjalistów, w dziedzinie których mają objawy dominujące. Czyli jeśli ktoś ma objawy neurologiczne, to u neurologa. Jeżeli ktoś ma objawy ze strony układu ruchu, to u reumatologa, a jeżeli ktoś ma objawy ze strony przewodu pokarmowego, u gastroenterologa itd, dlatego że te choroby rzadkie wpadają w bardzo wiele różnych kategorii.

Takim narzędziem wsparcia pacjenta jest również platforma chorób rzadkich, w której, jeżeli rzeczywiście dobrze nam się rozwinie, będą wszelakie kompleksowe informacje pozwalające temu pacjentowi odnaleźć się w tym systemie, ukierunkować się i wiedzieć, gdzie pójść. Także 46 tych ośrodków eksperckich, które posiadamy, może się zaopiekować sporą grupą pacjentów. No i oczywiście jesteśmy otwarci także na inne ośrodki eksperckie, nowe, żeby się tworzyły.

To, co jeszcze tutaj nie padło, ale myślę, że też powinniśmy tym się zająć, to jest wsparcie pacjentów ze strony opieki społecznej. Część tych pacjentów źle funkcjonuje, jest niepełnosprawnych, ma różne potrzeby związane z codziennym funkcjonowaniem. Ja na pewno będę o tym myśleć, żeby i w tej części, która nie podpada bezpośrednio pod zdrowie, takim codziennym funkcjonowaniu w życiu, nasze działania zmierzały do tego, żeby im pomóc.

Także orzecznictwo. Prawda? Tutaj też mamy coś do zrobienia, ponieważ jeżeli ktoś ma chorobę rzadką genetycznie uwarunkowaną, to raczej ten jego genom sam się nie naprawi. Bardzo wiele jest takich sygnałów od pacjentów, że często muszą się stawiać przed komisją, a właściwie choroba jest nieuleczalna. Myślę więc, że jeśli chodzi o wsparcie pacjentów, to tyle mogę odpowiedzieć.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dziękujemy.

Podsekretarz stanu w MZ Urszula Demkow:

Teraz pan poseł Pietrykowski. Jeśli chodzi o te rzadkie badania, to jest bardzo ważna uwaga, żeby rzeczywiście te najrzadsze badania były skumulowane w ośrodkach, które potrafią te badania wykonać i prezentują odpowiednią jakość, a także odpowiednie kontrole, żeby te badania były jakościowo na najwyższym poziomie. Myślę, że dla niektórych badań wystarczy jeden ośrodek w kraju, bo pewne badania są niezwykle rzadkie. Niektóre badania enzymatyczne jak najbardziej.

Oczywiście w laboratoriach powiatowych badania chorób rzadkich w zasadzie będą nierentowne. Jeżeli ktoś by miał dwóch pacjentów w roku, to nie podejrzewam, żeby rentowne było prowadzenie takiego badania.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dziękujemy. Czy już zmierzamy do finału?

Podsekretarz stanu w MZ Urszula Demkow:

Już się zbliżamy do finału. Temat kadr. Oczywiście jeszcze raz chciałabym podkreślić, że to nie są tylko lekarze genetycy i że nie ma takiej specjalizacji jak choroby rzadkie.

Natomiast w każdej specjalizacji trzeba na te choroby rzadkie zwracać uwagę i w programie specjalizacji powinno się to uwzględnić, więc to jest niezwykle ważne.

Tutaj uwaga na temat achondroplazji. Ja osobiście byłam włączona w te rozmowy z rodzinami, z mamami tych pacjentów. Jest ich około 300 w naszym kraju. Niestety cały problem z refundacją leży po stronie firmy BioMarin, która produkuje lek Voxzogo, który jest właśnie dla pacjentów z achondroplazją…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Pani minister, apeluję o to, żeby nie operować nazwami…

Podsekretarz stanu w MZ Urszula Demkow:

Przepraszam. W każdym razie firma, która produkuje dany lek, nie podjęła rozmów na temat refundacji. Nie wypełnili wniosku refundacyjnego i wycofali się generalnie z rynku polskiego, tłumacząc że nasz system refundacyjny jest skomplikowany. Jakoś innym firmom to nie przeszkadza, więc ja nie wiem, jak ten problem rozwiązać.

Czy można zmusić firmę do tego, żeby do nas przyszła i o tę refundację leków poprosiła, o takie rozmowy? No bo generalnie jeśli ich nie ma na polskim rynku, to nawet nie ma do kogo się tutaj zwrócić. Ja uważam, że to dla tych pacjentów jest strasznie przykre, bo jeżeli jest dobra wola po stronie nas wszystkich i Ministerstwa Zdrowia, a firma nie chce, no to nie mamy chyba jak jej zmusić.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Pani minister, musimy powolutku zmierzać do finału.

Podsekretarz stanu w MZ Urszula Demkow:

To ja dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Minister Miłkowski, bardzo proszę. Sekretariat proszę o pomoc ministrowi, bo mikrofon nie działa.

Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:

Dziękuję bardzo serdecznie. Do części lekowej od samego początku były pytania w zakresie jednej z terapii w programie lekowym leczenia rdzeniowego zaniku mięśni. Ten program funkcjonuje już ponad 4 lata. Na początku był przyjęty w Europie jako jeden z pierwszych programów dla całej populacji przedobjawowych i objawowych pacjentów. Terapia jedyna dostępna – nusinersen. Jeśli chodzi o ten lek, aktualnie w programie jest już około czy ponad 1000 osób w tym zakresie.

Na początku nusinersen był wyłącznie w ośrodkach dla dzieci i dla dorosłych. Przez dwa lata praktycznie zostały objęte wszystkie osoby, które tego leczenia potrzebowały. Istotnie pogram został rozszerzony 1 września 2022 r. i został objęty w ramach technologii lekowych o wysokiej wartości innowacyjnej. To zostało sfinansowane ze środków Funduszu Medycznego i ze środków ścieżki, która jest uwzględniona w systemie refundacyjnym. Jest to zgodne z prawem ustawy refundacyjnej, ponieważ ustawa o Funduszu Medycznym dopuściła kolejną ścieżkę obejmowania leków, która jest metodą analizy przez powołaną do tego agencję – Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, która działa w Polsce.

Ta agencja, w ustawie o Funduszu Medycznym z 2020 r., w art. 40, dostała dodatkowe zadania – przygotowanie i ustalenie poziomu innowacyjności technologii lekowych stosowanych w onkologii lub chorobach rzadkich. Raz do roku ma obowiązek przeanalizowania, aktualnie do końca marca każdego roku, wszystkich terapii, które zostały dopuszczone na europejski rynek, czyli dopuszczone przez Europejską Agencję Leków i proponuje ministrowi zdrowia taką listę. Minister zdrowia opiniuje tę listę. Jest ona opiniowana przez właściwych konsultantów krajowych, jak również przez Radę Przejrzystości i przez Rzecznika Praw Pacjent, a na koniec jest obwieszczana.

Agencja tworząc tę listę uwzględnia wiedzę z zakresu oceny technologii medycznej, w szczególności oczekiwane efekty zdrowotne, biorąc pod uwagę siłę interwencji, jakość danych naukowych, niezaspokojoną potrzebę zdrowotną, wielkość populacji docelowej oraz priorytety zdrowotne, Agencja jednocześnie analizując dane, przygotowuje te dane

na podstawie aktualnych wytycznych, aktualnych badań, które były podstawą do rejestracji danego leku i te badania i te wytyczne są podstawą do stworzenia proponowanego projektu programu lekowego, czyli tej populacji i kryteriów, włączenia kryteriów, wyłączenia kryteriów, monitorowania. Trzeba bowiem powiedzieć, że w zakresie monitorowania i efektywności klinicznej każdy lek ma obowiązek być monitorowany ze względów efektywności klinicznej tej terapii lekowej, zgodnie z tym, na co ten lek jest przeznaczony. To są kliniczne warunki już do tego poszczególnego leku.

Tak więc Agencja co roku taką analizę robi i ją przedstawia. Później przedstawię, jak to wyglądało, bo było pytanie o te poszczególne leki w poszczególnych latach, które zostały przyjęte w ramach dwóch wykazów technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej i leków innowacyjnych, ale jeszcze przejdę do programu lekowego leczenia rdzeniowego zaniku mięśni.

W roku 2021, co było bardzo istotne i co miało wpływ na umożliwienie i wprowadzenie nowych technologii lekowych, nastąpiło rozszerzenie programu badań przesiewowych noworodków przez Instytut Matki Dziecka, operatora tego zakresu. Na początku było ustalone, że ten program będzie wprowadzany po kolei w poszczególnych województwach. Od kwietnia 2021 r. rozpoczęło się od województwa mazowieckiego i ten program miał być wdrażany przez okres dwóch lat do kwietnia 2023 r. Ponieważ bardzo sprawnie zostało to przeprowadzone, to ostatnie województwa rozpoczęły badanie przesiewowe noworodków w marcu 2022 r. W związku z tym był to okres na negocjacje z firmą farmaceutyczną w zakresie dodatkowego wskazania.

Na wrzesień zostały wskazane dwa leki. Pierwszy lek – ponieważ pan przewodniczący prosił, żeby nie wymieniać nazw handlowych – onasemnogen abeparvovec został przyjęty. To o nim było dużo mowy. Również drugi lek – risdiplam – dla poszczególnej grupy pacjentów. Tak jak powiedziałem, kryteriami, które były realizowane wówczas, były kryteria rejestracyjne leków. Rejestracja leku odbyła się na podstawie trzech badań klinicznych i wszystkie te badania kliniczne opierały się na populacji pacjentów do szóstego miesiąca życia. Wyniki z części tych badań były mało obiecujące klinicznie, ale były wzięte pod uwagę.

W szczególności istotny klinicznie efekt tej terapii był dla pacjentów przedobjawowych i pacjentów, którzy w okresie pierwszych trzech miesięcy życia dostali jedno z tych badań. Wówczas Polska miała te badania przesiewowe już zrealizowane, więc firma była bardzo mocno zainteresowana tym, żeby w Polsce ten lek sprzedać, żeby być na rynku polskim, ponieważ można było dosyć łatwo wykazać efektywność, bo żadne inne państwo nie było w stanie tak szybko zdiagnozować pacjenta. Właściwie ten okres sześciu miesięcy, który został wówczas podany, był tylko w pierwszym okresie. Później, właściwie po kilku miesiącach, ten okres kwalifikacji pacjenta jest w pierwszych 30 dniach. Nie ma takiego państwa na świecie, które tak sprawnie kwalifikuje pacjentów.

Jeśli chodzi o liczbę pacjentów, to w tym pierwszym okrasie czterech miesięcy było dziewięciu pacjentów, którzy rozpoczęli leczenie. W roku 2023 było 19 pacjentów i to byli wszyscy, którzy kwalifikowali się…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Czy może pan jeszcze powtórzyć te liczby pacjentów?

Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:

Dziewięciu pacjentów w roku 2022 i 19 w 2023. Największa populacja w Polsce, która ma rozpoznanie rdzeniowego zaniku mięśni, to było 52 pacjentów w jednym roku. Ponieważ coraz mniej osób się rodzi, również ta populacja się zmniejsza.

Aktualnie, jeśli chodzi o ten program, od 1 kwietnia lista została już ogłoszona. Następuje kolejne poszerzenie tej populacji, która była przyjęta w roku 2022. To jest poszerzenie w zakresie likwidacji kryteriów czasowej niezdolności uniemożliwienia podania leku dla pacjentów, którzy mają czasowe przeciwwskazania. Tak się zdarza, że szacunkowo jest 2-3 pacjentów, którzy są zdiagnozowani, mają przeciwciała i ze względów klinicznych jest konieczne natychmiastowe podanie leku. Ponieważ jest bezwzględne przeciwwskazanie do podania leku o nazwie onasemnogen abeparvovec, wówczas podaje się lek

nusinersen. Teraz jest zmiana, że po tych 3-4 miesiącach – bo widzimy, że to jest okres, przez który te przeciwciała zanikają – można podać lek. Tego do tej pory nie było.

Drugim kryterium jest to, że pacjenci, którzy byli w programie lekowym i spełniają kryteria – kryterium jest 13,5 kg... Tu też trzeba powiedzieć, że Europejska Agencja Leków rozszerzyła wskazanie, którego nie było w badaniach klinicznych, do 21 kg, ale bardzo szybko towarzystwa naukowe europejskie wypracowały konsens, który jest niezgodny z rejestracją tego leku i ze względu na olbrzymie ryzyko dla pacjentów ograniczyły to wskazanie, że nie podadzą w Europie leku dla pacjenta powyżej 13,5 kg. Oczywiście mamy zbiórki dla pacjentów starszych, ponieważ w Zjednoczonych Emiratach Arabskich, w Dubaju, można pacjentom podać lek w każdym wieku, nie patrząc czy pacjent ma jakiekolwiek przeciwwskazania, czy nie.

Dodatkowo dla tej populacji pacjentów, na wniosek konsultantów krajowych do spraw neonatologii, pani profesor Helwich, jak również zespołu koordynacyjnego SMA, umożliwiliśmy podanie leku Synagis dla pacjentów z RSV. Do tej pory mieliśmy możliwość podawania dla pacjentów wcześniaków lub co najmniej trojaczków i pacjentów z wadami hemodynamicznymi. To są wskazania rejestracyjne.

Na wniosek właśnie trzech konsultantów, bo jeszcze z neurologii, przeanalizowaliśmy to i Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji zatwierdziła nam dwa wskazania. Dla pacjentów właśnie z SMA, do drugiego roku życia przez dwa sezony zakaźne, które trwają od 1 września do 30 kwietnia. I również dla pacjentów z mukowiscydozą, ponieważ w przebiegu zachorowania stan tych pacjentów istotnie się pogarsza i trudno jest później… Ci pacjenci istotnie pogarszają swój stan zdrowia, czyli podanie jest bardzo istotne klinicznie. Tak więc to jest od 1 kwietnia poszerzone i aktualnie jeśli chodzi o te osoby, które spełniają kryteria, ośrodki, które mają tych pacjentów pod opieką, którym nie został podany ten lek, mają obowiązek wezwać tych pacjentów i dokonać kwalifikacji czy mają wskazania czy nie mają bezwzględnych przeciwwskazań do podania tego leku.

Jak wiemy, w tym programie jest zespół koordynacyjny, który jest złożony ze wszystkich lekarzy, którzy podają, którzy są ekspertami w tym zakresie. Czyli to jest lek Zolgensma.

Pytanie było, czy są programy lekowe w chorobach rzadkich czy ultra rzadkich, które nie mają pacjentów. Oczywiście są. Czasami jest to związane z tym – ten początkowy okres – że jest okres kontraktowania, który trwa około trzech miesięcy. Ale mamy też program lekowe, które w dłuższym okresie nie są objęte. To jest na przykład leczenie gruźlicy wielolekooporniej, gdzie mieliśmy finansowanie z innego źródła. Między innymi producent, który jest w programie lekowym, w momencie rozpoczęcia wojny w Ukrainie dał na rzecz Polski gwarancję ilości leku prawie bezpłatnie i on jest finansowany poza programem lekowym. W związku z tym w programie lekowym nie był finansowany.

Również terapia połączona w innym zakresie, z refundacji w ramach Funduszu Medycznego. Na przykład lek dla pacjentów wysokozimmunizowanych, który to program trwa dwa lata. Miało być założenie, że będzie co najmniej 10 pacjentów. Nie został podany ani razu. Rozmawiamy z producentem. Z czego wynika, że jest zakwalifikowanych pięciu pacjentów…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dziękujemy.

Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:

Czyli likwidacja tego, że można pacjenta „przeszczepić”... Przeszczep nerki. Jeśli chodzi o listy, przedstawiłem, że Agencja ocenia te leki, które są najbardziej innowacyjne. Aktualnie najnowsza lista, która została przedstawiona w tym tygodniu, zawiera cztery wskazania refundacyjne dla trzech leków. Zaczynamy więc tę procedurę, o której powiedziałem, konsultacji z ekspertami, a w maju planujemy przedstawić tę listę.

Jeśli chodzi o pierwszą listę, która była z 2021 r., tam było sześć technologii lekowych i wszystkie zostały objęte refundacją. To był giwosyran sodowy, lumazyran sodu – i to jest jedna firma dla tych dwóch leków. Te leki miały przedłużenie w tym roku, pierwszy od stycznia i od kwietnia.

Kolejny to jest onasemnogen abeparvovec. Pierwsze dwa lata mijają we wrześniu tego roku. Tak jak powiedziałem, ta lista 19 pacjentów w ubiegłym roku została… Kolejni pacjenci są włączani.

I lek, o którym właśnie powiedziałem – to jest odczulanie wysoko zimmunizowanych dorosłych biorców przeszczepu nerki – imlifidaza. Tam nie ma żadnego pacjenta. Produkt będzie przedłużany, ale ośrodki już są i pacjenci są zakwalifikowani. Jeden pacjent dostał przeszczep, ponieważ trafił na listę transplantacyjną i nie wymagał podania leku. Bez tego programu lekowego nie mógłby otrzymać przeszczepu.

W liście drugiej było przedstawionych 11 technologii. Z tego, po analizie, minister zdrowia przyjął sześć. Jeśli chodzi o pierwszy lek, atidarsagene autotemcel w leukodystrofii metachromatycznej, została wydana odmowa o objęciu refundacją. Drugi lek, substancja czynna autologiczne transdukowane anty-CD19…

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Panie ministrze, to są już straszne szczegóły leków. Pytania były o… No, nie będę ich powtarzał. Bardzo proszę…

Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:

Dobrze. Ta terapia Tecartus została sfinansowana – chłoniaki T-komórkowe. Dalej. Postępująca cholestaza wewnątrzwątrobowa – nowe objęcie z drugiej z drugiej listy 1 stycznia br.

Dalej. Leczenie chorych na raka piersi. Bardzo oczekiwana terapia w potrójnie ujemnym raku piersi. To jest sacituzumab gowitekan.

Kolejne. Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych. To jest neurologiczna choroba – choroba Devca. Również rak rdzeniasty tarczycy – to jest selpercatinib. I ostatnia, tafasytamab – to jest leczenie chłoniaków T-komórkowych. To jest lista druga.

Aktualnie jesteśmy w liście trzeciej z 30 czerwca ub.r. Zostały objęte dwie terapie. Pierwsza, w raku urotelialnym. Bardzo oczekiwana terapia, bardzo często podawana już wcześniej w ratunkowym dostępie do technologii lekowej – enfortumab wedotyna oraz lek, który jest na najbliższej liście leków refundowanych olipudasa alfa...

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Panie ministrze, ja nie pamiętam pytania o to, żeby pan wymienił wszystkie listy refundacyjnej i wszystkie leki. Takiego pytania nie było.

Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:

Było pytanie o Fundusz Medyczny, że to są leki dwóch firm i dlaczego tylko tych dwóch firm. Ja nie mam tutaj wymienionych firm, ale wydaje mi się, że to jest zdecydowanie więcej firm farmaceutycznych. Jeśli Agencja analizuje leki, to w ustawie refundacyjnej nie ma tego, czy pod kątem producenta. Ma analizować pod kątem wartości innowacyjnej, wartości klinicznej. Pod tym kątem proponuje.

Bardzo istotnym elementem była jeszcze lista technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej. Tam faktycznie jest bardzo wysokokosztowa terapia, która jest istotnym elementem wykorzystania Funduszu Medycznego. To są dwie terapie – trzecia została objęta z normalnej refundacji – w zakresie pacjentów z mukowiscydozą. Negocjowaliśmy bardzo mocno w ramach właśnie tego funduszu, żeby pierwsze lata były ujęte w tym zakresie. Teraz udało nam się przedłużyć tę listę. Bardzo trudne negocjacje i planowane najprawdopodobniej na październik poszerzenie populacji od drugiego roku życia, bardzo oczekiwane przez pacjentów. Ale firma złoży wniosek dopiero do końca kwietnia b.r.

Pytanie jeszcze – 4% funduszu jest przeznaczone na ratunkowy dostęp do technologii lekowej oraz 10% wysokości całkowitego budżetu refundacyjnego, który aktualnie wynosi 22 mld, na technologie lekowe o wysokiej wartości innowacyjnej.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dziękuję. Panie ministrze ja będę jednak prosił o ustosunkowanie się na piśmie do tego, co mówiłem. Pan starał się, jak rozumiem, udzielić bardzo szczegółowej informacji. Słuchałem z wielkim zaciekawieniem tego, co pan mówił, bo de facto, jeśli ja dobrze pana zrozumiałem, bo może się mylę i dlatego będę prosił jednak o odpowiedź na piśmie…

Czyli spośród 800 ml zł przeznaczonych z Funduszu Medycznego na innowacyjne technologie lekowe jeden z koncernów otrzymał czy z ministerstwa dostał dofinansowanie na zakup leków w wysokości 730 mln zł. I rozumiem z tego, co pan mówił, że Polska była jedynym takim miejscem w Europie, w którym można było tak masywne badania przeprowadzić i jednocześnie prowadził badania poszerzając zakres wskazań w trakcie tego procesu leczniczego. Czy dobrze pana zrozumiałem? Tak pan przynajmniej mówił.

Czyli 700 mln, nieograniczony dostęp do pacjentów i jednocześnie badania pozwalające na poszerzenie zakresu wskazań medycznych do stosowanego leku. Jeśli ja dobrze pana zrozumiałem, bo takie mam wrażenie… No przy okazji SMA, że to jest... No to dlatego może nie przedłużajmy. Zwrócę się do pana z bardzo szczegółowym pismem, bo to jest dla mnie zadziwiające.

I pytanie ostatnie, bardzo już krótkie. Czy państwo przeprowadzali kontrolę w Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, że te rekomendacje z tak dużą dozą współpracy z tym potężnym koncernem, który nie wstępuje na ścieżkę refundacyjną…? W jaki sposób to się działo w tym AOTMiT-ie? Czyli jednym zdaniem, czy została przeprowadzona kontrola na temat jakości kwalifikacji potencjalnych propozycji dla ministra zdrowia refundowania leków z Funduszu Medycznego, w tym przypadku wysokości 800 mln zł? Widzę kiwanie głowami, że nie. Czyli takiej kontroli w AOTMiT nie było?

Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:

Nie, nie było. Aktualnie widzimy, że tylko trzy leki zostały przekazane. Być może oczekiwanie byłoby większe.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

No, nie chcę bawić się, gdybym był na waszym miejscu, ale ja jednak sprawdziłbym to, w jaki sposób wydano 800 mln zł, z czego 730 dla jednego koncernu, niezależnie od tego, jak dobre leki robi i jak bardzo jest to potrzebne pacjentom. To jest pierwszy temat, nad którym w ogóle nie chcę dyskutować, tylko mówię o czystej technice finansowej i sposobie dochodzenia do Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji z taką dużą ofertą tak chętnie akceptowalną.

Strona społeczna. Ja oddam państwu oczywiście głos. Tę część poprowadzi pani poseł Gelert, bo ja mam niestety dalsze obowiązki, ale pani poseł zrobi to wyśmienicie. Poproszę ministerstwo, przynajmniej w przypadku jednego wiceministra, żeby... Ktoś jeszcze chce zabrać głos. Tak? Aha. Przepraszam. Ja nie wiedziałem, że pani się zgłasza. Jeszcze ministerstwo jednak zabierze głos. Sorry, nie widziałem.

Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:

Dobrze. To oczywiście odpowiem panu przewodniczącemu na piśmie, bo ja nie widzę takiej firmy, chyba że to jest mukowiscydoza. Jednak z tego raportu, który mam, widzę, że w ciągu dwóch lat to było 540 mln zł.

Przewodniczący poseł Bartosz Arłukowicz (KO):

Dokładnie o tym mówimy. Pan minister teraz mówił o mukowiscydozie. Dobrze, zostawmy tę dyskusję między nami, panie ministrze. Myślę, że ona jest… Bez przymiotników powiem.

Bardzo proszę, pani dyrektor. Tak, tak, tak. Ja doskonale, mam wrażenie, rozumiem pana ministra i myślę, że pan minister doskonale rozumie, o co mi w tym wszystkim chodzi. Pani dyrektor.

Zastępca dyrektora departamentu w MZ Dominika Janiszewska-Kajka:

Szanowni państwo, odpowiadając zbiorczo na pytania dotyczące finansowania, bo takie padały, chciałabym zaznaczyć, że jeśli chodzi o realizację planu, który wygasł, to 3 mln zł zostały wydane na powstanie platformie informacyjnej, natomiast teraz szacujemy koszty powstania karty pacjenta dla chorego z chorobą rzadką i rejestru chorób rzadkich. To będą wydatki związane z infrastrukturą techniczną, te, które będą ulokowane w Centrum e-Zdrowia.

Jeśli chodzi o finansowanie procedur diagnostycznych i terapii lekowych, to wypowiem się w zakresie procedur diagnostycznych i finansowania ośrodków eksperckich. Tutaj jeszcze nie zostały wydane pieniądze, dlatego że to są zadania, które właśnie

się realizują. Czyli szacujemy – tak jak powiedziała pani minister Urszula Demkow – że badania genetyczne, które zostaną lada moment wprowadzone do koszyka, czyli te dwa – aCGH i real-time PCR, odpowiednio będą wynosiły w skali roku 19 mln przy populacji, którą założyliśmy i 13,5 mln również biorąc pod uwagę populację, którą założyliśmy.

Kolejne badania, które będą włączane do koszyka, o których też pani minister wspomniała, a to jest na etapie karty świadczenia i rekomendacji AOTMiT-u. Czyli badania, które zostały wymienione przez panią minister, to są w chorobach metabolicznych, i tu już nie będę wymieniała szczegółowo. Nie mamy jeszcze, proszę państwa, szacunkowej liczby pacjentów, którzy będą objęci taką diagnostyką, jak również nie mamy kosztów. To też lada moment. Agencja do 30 kwietnia zdaje się dostała termin wydania rekomendacji i tam już w karcie świadczenia, w raporcie będą istotne informacje kosztowe i w zakresie populacji.

Szacowaliśmy też, proszę państwa, finansowanie ośrodków eksperckich. Tu, jak wspomniałam, też nie zostały wydane pieniądze, ponieważ to jeszcze nie nastąpiło. Czyli model finansowania ośrodków eksperckich z zakresu AOS-u, to jest, jeśli chodzi o poszczególne porady. To ja też wymienię: kompleksowa ocena genetyczna w przypadku występowania rzadkiej choroby genetycznej, realizowana w ośrodku eksperckim dla chorób rzadkich to jest 33 mln rocznie; kompleksowa ocena specjalistyczna u pacjenta z chorobą rzadką, konsultacja realizowana w ośrodku eksperckim rzadkim 19,6 mln i porada genetyczna – tutaj mam koszt tego – konsultacja specjalistyczna 82,360 mln. To jest w skali roku. Odpowiednio, gdy wypracujemy rozwiązanie dla leczenia szpitalnego, to też podamy szacunkowo. Oczywiście po upływie roku Agencja weryfikuje wycenę tego, co zostało sporządzone. Czyli przeprowadzamy taką prawidłową taryfikację świadczeń w momencie, gdy już dane świadczenie, czy też produkt, funkcjonuje w systemie, bo na razie opieramy się tylko na szacunkach.

Jeśli chodzi o Fundusz Medyczny, to w zakresie diagnostyki chorób rzadkich zostało wydatkowane około 40 mln zł, ale nie mam informacji szczegółowej. Jeżeli pani przewodnicząca pozwoli, to odpowiemy na piśmie, ile zostało wydanych pieniędzy. A jeśli chodzi o terapie lekowe, to nie wiem, czy pan minister Miłkowski wymieniał, ile zostało wydanych pieniędzy z Funduszu Medycznego w przypadku terapii nieonkologicznych. Otóż w 2023 r. zostało wydanych 2 mld zł, ale nie mam też danych, pani przewodnicząca, jaki to jest procent kwoty z Funduszu Medycznego, więc też, jeżeli pani pozwoli, odpowiemy szczegółowo na piśmie.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dobrze. Dziękuję bardzo. Panie pośle Piecha, pan się zgłaszał. Ja bym miała taką prośbę. Oczywiście oddaję panu głos, tylko miałabym prośbę, jakby można było krótko, ponieważ strona społeczna naprawdę czeka już bardzo długo...

Poseł Bolesław Piecha (PiS):

Nie zamierzam długo, pani przewodnicząca.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękuję bardzo.

Poseł Bolesław Piecha (PiS):

Ja tylko patrzę na ten dokument, który państwo przedłożyli. Pani minister Urszula Demkow jest pod nim podpisana, rozumiem, i ten dokument jest dla nas wiążący, żeby było jasne.

W tym dokumencie nie czytam, że nic nie zrobiono. Czytam natomiast bardzo ważne informacje, chociażby w jednym z akapitów, że „Do historii przechodzi rok 2023, w którym refundacją objęto aż 145 innowacyjnych terapii, (w tym /…/ 43, jeżeli chodzi o choroby rzadkie)”. Przeznaczono określone środki, pieniądze i trudno powiedzieć, czy nic nie zrobiono, skoro takich programów przecież nie było. Życzyłbym sobie i polskim pacjentom, żeby to było kontynuowane, a nie żeby to było kontestowane.

Nie będę się wypowiadał na temat leczenia chorób onkologicznych, bo na tym specjalnie się nie znam. Być może tam pojawiają się różne rzeczy, ale pewnie państwo doskonale

wiedzą, że to R&G, czyli badania i ewentualnie rozwój prowokują, a i wskazania, i nowe cząsteczki itd, i zawsze będziemy mieli poczucie, że za mało, żeś nie zdążyliśmy itd.

Również chciałbym powiedzieć jeszcze o jednej rzeczy. I to jest pytanie. Pani minister, co z programem, który dotyczy chorób rzadkich. On jakby miał określone ramy prawne. Wydaje mi się, że to jest jedyny dokument, który powinien przewidywać jakąś strategię na następne lata. Ten program nie wymaga żadnej inicjatywy ustawodawczej, bo to jest w gestii Rady Ministrów. Czyli wystarczy po prostu taki dokument przygotować i tę strategię Rada Ministrów w odpowiednim rozporządzeniu, publikowanym w Monitorze Polskim może upublicznić. Tego, bym sobie życzył, żebyśmy wiedzieli, jakie kierunki będą, i czy te kierunki – bo taką dyskusję tutaj słyszałem – będą kontestowane, bo jeżeli się nic nie robiło, to być może trzeba temu nadać nowej dynamiki.

Stąpajmy po ziemi. Oddajmy naukowcom i tym praktykom to, co jest w ich sprawach. My jako posłowie, nawet jako lekarze, nie mamy absolutnie dostępu do wszystkich rzeczy związanych z charakterystyką produktu leczniczego i z konsekwencjami bardzo rzadkich cząsteczek. To robi AOTMiT. Nie kwestionowałbym zaś ich opinii, ponieważ opierają się również na Europejskiej Agencji Leków.

Będąc w Parlamencie Europejskich z niektórych stron – nie powiem, z których – zawsze słyszałem, że rządzą koncerny farmaceutyczne i wszystkie państwa, łącznie z Unią Europejską i EMA, która była takim rejestrującym ciałem, są na pasku tych wszystkich przedsiębiorstw. Jest to nieprawda. Przy tylu miliardach złotych nie bardzo wiem, jak można byłoby wziąć cokolwiek pod stołem – bo takie sugestie tu pan przewodniczący dziś… Ja to może tak słyszałem.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

To pan słyszał.

Poseł Bolesław Piecha (PiS):

I gdzie to ukryć? Nawet pani Kaili, wiceprzewodnicząca Parlamentu Europejskiego, zdążyła ukryć 100 tys. euro, a to nie jest majątek. W standardach europejski to żaden majątek nie jest. Pewnie porządne auto kosztuje mniej więcej tyle środków finansowych. Proszę więc nie oskarżać wszystkich o złe intencje, o to, że są skorumpowani, bo nie są. Natomiast życzyłbym, żeby taki plan przygotować i żeby wskazać dalsze możliwości wspomagania polskich pacjentów, bo to jest do nich kierowane, a nie do nas, żebyśmy się wzajemnie oskarżali. Dziękuję.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękuję bardzo, panie pośle. Myślę, że będzie to nie tylko kontynuowane, ale i rozwijane, a na pewno to, żeby tempo podkręcić, jest zawsze dobre w każdej sytuacji.

Dziękuję bardzo. W tej chwili przechodzilibyśmy do strony społecznej. Bardzo proszę. Tylko bardzo proszę się przedstawiać. Dobrze? I jeżeli państwo pozwolą, ja nie będę ręką pokazywała, tylko państwo ustaliliby między sobą, jak będą po kolei zabierali głos. Będziemy tak długo, aż wszyscy państwo zabiorą głos. Dziękuję.

Przewodnicząca Rady do spraw Chorób Rzadkich, konsultant krajowy w dziedzinie genetyki klinicznej Anna Latos-Bieleńska:

Anna Latos-Bieleńska. Ja jestem przewodniczącą Rady do spraw Chorób Rzadkich i konsultantką krajową w dziedzinie genetyki klinicznej. Bardzo dziękuję pani przewodniczącej za możliwość zabrania głosu, ponieważ padły tutaj pytania i uwagi, na które bym chciała odpowiedzieć.

Pani przewodnicząca, szanowni państwo, Rada do spraw Chorób Rzadkich działała rok i 9 miesięcy, zanim wygasł ostatecznie „Plan dla chorób rzadkich". Ona dalej jest utrzymana formalnie do końca bieżącego roku.

My od samego początku działaliśmy niezwykle intensywnie. Jeśli są jakiekolwiek zarzuty odnośnie do tego, że nic nie zrobiono, to nie może to odnosić się do ekspertów. My odbyliśmy 180 spotkań w tym czasie, powołaliśmy 7 zespołów ekspertów, 60 ekspertów pracowało z ogromnym poświęceniem, entuzjazmem i pro bono dla sprawy chorób rzadkich i cieszyliśmy się, że możemy poprawiać los osób z chorobami rzadkimi.

Dziękuję z tego miejsca ekspertom, bardzo profesjonalnemu zespołowi CeZ, pani dyrektor Janiszewskiej-Kajce, przedstawicielom organizacji pacjenckich. Doceniam też starania pani poseł Chybickiej, która bardzo intensywnie w tej chwili działa, żeby reaktywować plan i też bardzo za to dziękuję.

Przechodzę do spraw genetyki. To jest bardzo ważna sprawa. Nawet jest ona trudniejsza niż w tej chwili się wydaje, bo kiedy mówi się o onkologii, to tam jest podobny problem. Tam też badania genetyczne są niezbędne i w tej chwili mamy dwa te wielkie programy „Narodowa strategia onkologiczna" i „Plan dla chorób rzadkich" i w obu obszarem niezwykle ważnym jest poprawa diagnostyki genetycznej.

Ponadto zmieniła się genetyka. Zmieniły się możliwości diagnostyki. To są niezwykle skomplikowane metody i zapotrzebowanie na diagnostykę genetyczną rośnie wprost lawinowo. Musimy zabezpieczyć możliwości tej diagnostyki, przede wszystkim jeśli chodzi o kadry.

Pierwsza sprawa, genetycy kliniczni. Tak, jest nas mniej niż 150. Związane jest to przede wszystkim z tym, że genetyk wiedział jak ma diagnozować, ale nie miał niestety tych najważniejszych metod diagnostycznych. Ich nie było w koszyku. Dopiero teraz, w tym roku, ma się to zmienić.

Ponadto wycena wizyt w poradni genetycznej była bardzo niska, a wizyta w poradni genetycznej pacjenta, zwłaszcza z chorobą rzadką, to jest godzina a nawet półtorej godziny. Dlatego genetycy odchodzili do innych specjalizacji.

Co my w międzyczasie zrobiliśmy, bo my staramy się razem z zarządem Polskiego Towarzystwa Genetyki Człowieka zmienić sytuację? Zmieniliśmy... Ja trzeci raz w tej chwili wystąpiłam o to, żeby genetyka kliniczna była specjalnością priorytetową i dziękuję pani minister za zapewnienia, że sprawy są na dobrej drodze.

Kolejna sprawa. My zmieniliśmy zupełnie program specjalizacji. To jest w tej chwili nowoczesna medycyna genomowa, która myślę, że przyciągnie bardzo dobrych absolwentów wydziałów lekarskich.

Kolejna sprawa. Uaktualniliśmy program specjalizacji z laboratoryjnej genetyki medycznej. To jest specjalizacja dla diagnostów laboratoryjnych i ona też w tej chwili została poszerzona o znajomość najbardziej nowoczesnych metod diagnostyki.

Naszą wielką nadzieją jest nowa specjalizacja. To jest specjalizacja, która włącza biotechnologów i biologów molekularnych do diagnostyki. Nazywa się medyczna genetyka molekularna. Ona jest zapisana w ustawie o medycynie laboratoryjnej i już pierwsi specjalizanci będą zdawać egzamin specjalizacyjny w maju – pierwszych 50 osób. To jest niezwykle ważna sprawa. Bez tej specjalizacji byłaby totalna zapaść w diagnostyce genetycznej.

Musi być też jeszcze zabezpieczone poradnictwo genetyczne i ta część, która jest związana z rozmową z pacjentem, z identyfikacją osób ryzyka genetycznego, z udzielaniem porad genetycznych. Tutaj nasze starania idą w kierunku, po pierwsze, pielęgniarek genetycznych.

Ogromnie się cieszę, że jest pozytywna rekomendacja środowiska pielęgniarskiego. Szacuję, że w Polsce potrzeba 300 pielęgniarek, które by pracowały głównie z lekarzami genetykami, specjalistami genetyki klinicznej.

Jednak dla onkologii potrzebne jest jeszcze coś więcej. Jest potrzebny zupełnie nowy zawód. To jest doradca genetyczny w onkologii. To byłaby specjalizacja dla biotechnologów, biologów molekularnych głównie – jeszcze o tym dyskutujemy. Taki wyszkolony doradca genetyczny pracowałby z dużą samodzielnością, też pod kierunkiem specjalisty genetyki klinicznej, ale by identyfikował rodziny ryzyka zagrożone nowotworem. Też szacujemy, że w Polsce potrzeba około 300 takich doradców genetycznych.

Szkolenie pielęgniarki genetycznej to jest około pół roku. Program tego szkolenia jest już prawie gotowy. Pracujemy nad programem specjalizacji dla tego nowego zawodu doradcy genetycznego. Dziękuję bardzo.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Bardzo dziękuję. Bardzo proszę.

Prezes Federacji Pacjentów Polskich Stanisław Maćkowiak:

Szanowna pani przewodnicząca, szanowni państwo, Stanisław Maćkowiak, Federacja Pacjentów Polskich i Krajowe Forum Orphan. Jestem również członkiem Rady do spraw Chorób Rzadkich.

Ja nie chciałbym zaczepiać w żaden sposób politycznie, tylko chciałbym powiedzieć, co widzimy z punktu widzenia pacjenta, jak wygląda sytuacja, jeśli chodzi o opiekę dla chorych na choroby rzadkie, i chciałbym odpowiedzieć na kilka pytań.

Pierwsze pytanie. Czy coś się zmieniło w tym czasie, jeśli chodzi o opiekę dla chorób rzadkich? Tak zmieniło się bardzo dużo, jeśli chodzi o jakieś działania w niektórych jednostkach chorobowych. Tak, w niektórych miejscach jesteśmy naprawdę na czele Europy w niektórych działaniach. Natomiast na pytanie, czy coś się zmieniło systemowo, proszę państwa, odpowiedź – nie, nic się nie zmieniło systemowo. „Plan dla chorób rzadkich" jak miał być, tak nie ma go w dalszym ciągu. Ten plan, który był opracowany, był przyjęty 24 sierpnia, natomiast był wydrukowany, jeśli chodzi o Monitor Polski, po miesiącu a mógł zacząć działać w momencie, kiedy zostały powołane pierwsze zespoły, czyli została powołana Rada do spraw Chorób Rzadkich. To było 26 maja 2022 r. Zatem, szanowni państwo, cały czas ten problem administracyjny i legislacyjny wisi nad nami.

Natomiast to, o czym mówiła pani przewodnicząca, te działania tych wszystkich rad ekspertów, to była naprawdę bardzo tytaniczna praca. Nikt nie zastanawiał się, ile czasu ma na to poświęcić, ponieważ wszyscy czuli, że to jest nareszcie szansa na to, żeby te zadania, które są w tym planie, chociaż one dotyczyły tylko części medycznej tej opieki dla chorych na choroby rzadkie… Wszyscy mieli nadzieję, że zostanie to w tym czasie wdrożone.

I co się wydarzyło? Nic się nie wydarzyło z uwagi na to, że ten plan wygasł. Były próby kontynuacji tego planu. Między innymi z panią minister Sójką rozmawialiśmy na ten temat. Nawet były przygotowane dokumenty, które leżały w KPRM-ie. No, ale nie udało się tego dokumentu przyjąć, żeby można było ten plan kontynuować.

Gdzie jesteśmy w tym momencie? Zaczynamy od zera. Mamy to oczywiście przygotowane, efekty tych prac są, natomiast z punktu widzenia prawnego jesteśmy w punkcie zero. Musimy przygotować ten dokument i propozycja, która w tym momencie wśród ekspertów została przekazana, nie odzwierciedla tego planu, który był poprzednio, bo tam zostało zmienionych wiele rzeczy. W związku z tym jest serdeczna prośba.

Rozmawialiśmy na ten temat z panią minister, że w najbliższym czasie do takiego spotkania dojdzie. Mam nadzieję, że propozycja taka, żeby zebrać tę grupę ekspertów, która pracowała nad poprzednim planem, żeby można było przelecieć punkt po punkcie propozycje aktualnego planu, żeby w tym terminie, o którym mówiła pani minister, czyli drugim kwartale, można było ten dokument przyjąć i zacząć realizować te zapisy, które są przygotowane. One są już przygotowane, więc trzeba po prostu to reaktywować. Mam więc nadzieję, że wszyscy są gotowi do tego, żeby ten plan wreszcie zapisać, żeby go przyjąć i zacząć realizować. I mam nadzieję, że będzie taka wola polityczna. Dziękuję bardzo.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękuję bardzo. Mamy właśnie odpowiedź, że z jednej strony wykonano bardzo dużo, bo faktycznie dużo, ale z drugiej strony, ta część administracyjna czeka nas jeszcze i na pewno musi rozpocząć nowe rozdanie, więc i nowe...

Poseł Bolesław Piecha (PiS):

To dlaczego to wyrzucono do kosza?

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Nie wyrzucono do kosza. Był termin, tak jak pan tu mówił, do którego był ten plan. Ten plan nie został nawet zrealizowany. Po prostu został odłożony i w tej chwili jakby trzeba od nowa... No niestety, tak to właśnie czasami się powiela, że coś się opracuje, nie zostanie wdrożone i zaczyna się nowe.

Bardzo proszę. Może teraz z tej strony stołu, Związek Zawodowy Pielęgniarek i Położnych.

Przewodnicząca Ogólnopolskiego Związku Zawodowego Pielęgniarek i Położnych Krystyna Ptok:

Jestem tu jako obywatel tego kraju zainteresowany tematem chorób rzadkich i korzystam z tego, że mam na sali tak duże gremium. Ja poproszę panią przewodniczącą jeszcze raz o głos, gdy wyczerpiemy ten punkt.

Krystyna Ptok, obywatelka, babcia dziecka chorego na chorobę Buschkego-Ollendorffa. Udało nam się wnuka zdiagnozować. Problem zaczął się, gdy miał 1,5 roku. Byłam nawet u pani profesor Chybickiej w ośrodku, bo myśleliśmy, że może to jakiś nowotwór. Trwało to bardzo długo. Wreszcie udało nam się po bardzo wielu latach postawić dziecku diagnozę.

Rozmawiałam z panem prezesem Maćkowiakiem, rozmawiałem z panem profesorem Walczakiem, który jest w Narodowym Funduszu Zdrowia konsultantem od chorób rzadkich – nie wiem, czy jeszcze w tej chwili, czy coś się zmieniło. Rozmawiałem z wieloma osobami i korzystam z tego gremium, żeby państwa zapytać, czy w ogóle ktoś z państwa miał kontakt z takim dzieckiem czy osobą dorosłą.

Jest to choroba, która polega na zaburzeniach w tkance łącznej, którą mamy na każdym organie. To są objawy skórne, jak również objawy w kościach. Dochodzi do dysplazji kości długich. Miednicy, nóg. No wszystkie długie, które są w organizmie. Pytam państwa – tutaj jest wiele takich głosów, że należy o tych pacjentów dbać – czy w ogóle ktoś w Polsce miał kontakt z taką osobą?

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Przepraszam. Czy już pani zakończyła?

Przewodnicząca OZZPiP Krystyna Ptok:

Tak. Dziękuję pani przewodnicząca.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękujemy bardzo. No pytanie trudne, pewnie tak jak trudna cała sprawa. Nie chciałabym może tutaj odnosić się i dyskutować w tej kwestii. Bardzo proszę.

Kierownik Katedry i Kliniki Neurologii Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, Centralny Szpital Kliniczny UCK WUM Anna Kostera-Pruszczyk:

Bardzo dziękuję. Szanowna pani przewodnicząca, szanowni państwo, Anna Kostera-Pruszczyk. Ja byłam wiceprzewodniczącą Rady do spraw Chorób Rzadkich. W trakcie naszych prac nad implementacją planu jednym z obszarów, który był jakby moją główną odpowiedzialnością, to była kwestia ośrodków eksperckich chorób rzadkich. Na co dzień jestem kierownikiem Kliniki Neurologii Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, ośrodka, który od wielu dekad zajmuje się pacjentami z liczną grupą chorób rzadkich nerwowo mięśniowych, między innymi również pacjentami z rdzeniowym zanikiem mięśni.

Ja bardzo chciałabym wierzyć, nawet muszę powiedzieć, że wierzę, mam przekonanie, że nie jesteśmy jednak w momencie, w którym zaczynamy od zera. Zarówno dosyć energicznie toczące się prace zespołu parlamentarnego do spraw chorób rzadkich, jak i to dzisiejsze spotkanie, zapewnienia o dobrej woli i toczące się działania ze strony Ministerstwa Zdrowia, pozwalają nam mieć nadzieję, że to, co zostało wypracowane do tej pory, będzie na pewno podlegało pewnym modyfikacjom, ale że nie będziemy zaczynali od zera.

Dlaczego bardzo ważne jest wzmocnienie finansowe, jak i przekazanie odpowiednich narzędzi diagnostycznych ośrodkom eksperckim tym, które już przeszły tę kontrolę najwyższej jakości, należą do Europejskich Sieci Referencyjnych, co również z punktu widzenia finansowego ma duże znaczenie? Dlatego, że te ośrodki, które są w ERN-ach, zastępują w dużej części tak zwaną opiekę transgraniczną, czyli te ogromne wydatki z budżetu polskiego podatnika, które mogłyby wędrować na diagnostykę, leczenie zagraniczne w momencie, kiedy my mamy w Polsce znakomitych ekspertów w bardzo wielu obszarach. To jest ogromny zasób wiedzy i możliwości, który wymaga wsparcia.

Opóźnienie rozpoznania w chorobach rzadkich. To dotyczy zarówno kwestii finansowania nowoczesnych technik genetycznych, badań również w chorobach niegenetycz-

nych, wzmocnienie i wskazanie nowych ośrodków eksperckich. To opóźnienie rozpoznania jest długie. Ono w niektórych chorobach rzadkich sięga kilku a nawet kilkunastu lat.

Znam jedno, jedyne amerykańskie opracowanie, oczywiście w pewnych proporcjach do naszego systemu opieki zdrowotnej – opóźnienie rozpoznania w wybranych chorobach rzadkich w tych warunkach szacowane jest na od 80 do ponad 0,5 mln dolarów, z powodu wielu lat zbędnych, niepotrzebnych, czasem szkodliwych procedur medycznych, kiedy pacjent powinien uzyskać właściwą opiekę, nie zawsze wyrażającą się tymi bardzo drogimi terapiami. One są dostępne w mniej niż 3-procentach chorób rzadkich, natomiast w wielu chorobach rzadkich dobre, właściwe rozpoznanie pozwala racjonalnie sięgać po leki, które mamy dostępne również w chorobach powszechnych. Pozwala również uporządkować ścieżkę pacjenta w systemie ochrony zdrowia po to, żeby był pod opieką właściwych specjalistów wtedy, kiedy trzeba, a nie żeby wędrował tak trochę po omacku szukając właściwej pomocy i opieki.

Bardzo cieszy mnie deklaracja możliwości doliczania niektórych badań diagnostycznych do naszych hospitalizacji rozliczanych na podstawie tak zwanych jednorodnych grup pacjentów. To jest na pewno krok w bardzo dobrym kierunku, ale na pewno nie jest to wystarczające, żeby zbilansować realne koszty ponoszone przez ośrodki eksperckie.

Nie wszystkie nasze koszty przeliczają się na procedury. To jest kwestia budowania ekspertyzy, bardzo długiego czasu poświęcanego tym pojedynczym pacjentom, którzy już trafiają pod naszą opiekę. To jest również niesłychanie ważna rzecz, o której powinniśmy pamiętać. To budowanie zespołu, który potrafi rozpoznać, dostrzec, we właściwy sposób zająć się chorym z różnymi chorobami rzadkimi – to jest proces trwający lata – a więc pewna stabilność naszych zespołów, którą można budować tylko wtedy, gdy dyrektorzy szpitali zdają sobie sprawę z tego, że do ośrodków zajmujących się chorobami rzadkimi nie muszą permanentnie dokładać pieniędzy, nazywając rzecz po imieniu. To ma również bardzo duże znaczenie zarówno dla tych, którzy już są w tych tak zwanych Europejskich Sieciach Referencyjnych, a więc w ramach tego planu, który obowiązywał, uzyskali status ośrodków eksperckich chorób rzadkich, jak i znakomitych ośrodków, które z pewnością wszystkie kryteria są w stanie w tej chwili spełnić.

Oczywiście to jest bardzo szeroki obszar. Nawet najlepsze leki nie pomogą, jeżeli nie będziemy wiedzieli, kim są pacjenci, którzy ich wymagają, zarówno w chorobach nabytych, jak i uwarunkowanych genetycznie. Dlatego nasz gorący apel, żebyśmy mogli bardzo energicznie kontynuować te prace, które już toczyły się z bardzo dużym zaangażowaniem, bo jestem przekonana, że to jest wyłącznie z korzyścią dla wszystkich naszych pacjentów.

I jeszcze jedna uwaga dotycząca SMA. To jest rzeczywiście duży sukces, który w tej chwili pokazujemy na arenie międzynarodowej. Ja mam takie ciche marzenie, żebyśmy ten model od wczesnej diagnostyki, w tym momencie możliwej w ramach badania przesiewowego fantastycznie zorganizowanego w naszym kraju w tych chorobach, w których już jest, traktowali nie jako nazwijmy jednostkową radość, tylko model, który chcemy wdrażać w kolejnych grupach chorób rzadkich. Dziękuję.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękuję bardzo. Bardzo proszę.

Wiceprezes Fundacji Sanguis Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne Dawid Witkowski:

Szanowna pani przewodnicząca, szanowni państwo, Dawid Witkowski, Fundacja Sanguis Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne, prywatnie tata sześcioletniego chłopca z hemofilią typu A w postaci ciężkiej. Ja chciałbym dosłownie w kilku zdaniach przedstawić problemy, jakie obecnie istnieją w naszym kraju w leczeniu hemofilii, szczególnie wśród pacjentów pediatrycznych.

Od 2008 r. istnieje program lekowy, dzięki któremu dzieci mają dostęp do czynników krzepnięcia i są w jakiś sposób chronione. Niestety od 16 lat nie zmieniło się nic i cały czas dzieci mają dostępne czynniki krzepnięcia o tak zwanym krótkim działaniu. Z czym to się wiąże?

Czynniki te podaje się dożylnie małym dzieciom trzy razy w tygodniu. Jest to koszmar. Do naszej fundacji zgłasza się coraz więcej rodziców, którzy po prostu nie są w stanie sami sobie z tym radzić. Muszą udawać się do szpitala, być przyjmowani na oddział trzy razy w tygodniu. Żyły dzieciom pękają podczas podawania. Są malutkie. Nawet pielęgniarki z POZ-u, które powinny pomóc, odmawiają takiej pomocy, bo po prostu się boją. Te dzieci są zostawione same sobie razem z rodzicami. To jest po prostu takie ciche cierpienie.

Jest sytuacja, że mogą być refundowane również czynniki, na przykład o przedłużonym działaniu. One mogą być refundowane, ale od 16 lat nie udało się, aby zostały zakupione nawet raz w przypadku dzieci. A proszę sobie wyobrazić, że w przypadku czynnika o przedłużonym działaniu roczna liczba podań może zmniejszyć się o 30%, ale że medycyna idzie niesamowicie do przodu, to w niektórych przypadkach, w tym w przypadku hemofilii typu B, nawet o połowę. To jest niesamowita poprawa komfortu życia pacjenta.

Dlatego bardzo mocno apelujemy jako fundacja, jako rodzice, aby dać nam możliwość, aby te czynniki zostały wprowadzone, zakupione, żeby te dzieci miały coraz bardziej normalne życie. Tym bardziej, że w postępowaniu przetargowym często jest brana pod uwagę kwestia kosztu jednostkowego.

Jeśliby wziąć pod uwagę koszt całego leczenia, to w rzeczywistości wiadomo, że lek o przedłużonym działaniu będzie jednostkowo droższy. Nie zapominajmy jednak o fakcie, że ten koszt terapii będzie tańszy albo bardzo porównywalny, ponieważ podajemy go rzadziej, a komfort życia pacjenta będzie nieporównywalnie wyższy. Tym bardziej, że często, gdy są olbrzymie problemy z tymi podażami, tym dzieciakom są zakładane tak zwane porty. Porty nie są dedykowane do leczenia hemofilii. To były rozwiązania do leczenia onkologicznego.

W tym momencie nasz syn ma port, ponieważ nie bylibyśmy w stanie podawać mu dożylnie. Proszę mi wierzyć, że przy każdej gorączce powyżej 37° nam już zapala się czerwona lampka, że coś jest nie tak, że może być zakażenie portu.

Zakażenie portu wiąże się często z sepsą, z kilkutygodniowym pobytem w szpitalu. Założenie portu to jest operacja pod narkozą. Później, gdy jest zakażenie, trzeba wyjąć ten port. Również jest to zabieg operacyjny. Przecież za to też ktoś płaci, to nie jest za darmo. Gdyby więc te czynniki, na początku o tym przedłużonym działaniu, były dostępne, to nie dość, że koszt terapii jest paradoksalnie taki sam albo bardzo zbliżony, komfort życia nieporównywalnie lepszy, to ja pierwsze co bym zrobił jako rodzic, i wielu innych, wyjąłbym mojemu dziecku ten port nie narażając jego zdrowia i życia.

Dodatkowo przez to, że mamy naprawdę tylko jeden lek dostępny od tylu lat, lekarz prowadzący dane dziecko nie ma żadnej możliwości zindywidualizowania terapii pod danego pacjenta. Każde dziecko hemofilię przechodzi inaczej. Okres półtrwania, czyli okres, w którym ten dziennik utrzymuje się we krwi pacjenta, jest różny w przypadku danego dziecka. W tym momencie lekarz może tylko zwiększać albo zmniejszać podaż czynnika, albo jego dawkowanie na podstawie masy dziecka. Natomiast jeśli miałby możliwość podania, zastosowania również innych leków, to wtedy tak naprawdę może to dziecko rzeczywiście leczyć i to dziecko może dostać rzeczywiście dedykowane leczenie do swojej sytuacji, w jakiej się znajduje, na podstawie oczywiście wykonanych badań.

Co więcej, w przypadku ostatnich sześciu lat jest przełom w leczeniu. Ogólnie przełom w medycynie jest ogromny, ale w przypadku hemofilii można powiedzieć, że to jest razy dwa. Nie dość, że pojawiły się te leki długodziałające, to są też leki podskórne, są terapie genowe. Jest niesamowity przełom, a my cały czas tkwimy w tym samym miejscu, w którym byliśmy 16 lat temu. Wtedy to był przełom, przyznaję, ale teraz naprawdę mamy mnóstwo innych metod leczenia. Praktycznie w całej Unii Europejskiej te dzieciaki mają do tego dostęp, a u nas z różnych powodów, nie wiem jakich, nie możemy pójść dalej i nie możemy tym naszym dzieciom zaproponować takiego lepszego leczenia…

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

No i po to mamy takie posiedzenie Komisji, ażeby na ten temat właśnie dyskutować. Myślę, że ministerstwo będzie miało możliwość wykazania się albo przynajmniej

popracowania nad tym, żeby to zmienić. Zarówno pan minister, jak i pani minister. Myślę, że tyle nieszczęść….

Wiceprezes Fundacji Sanguis Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne Dawid Witkowski:

Bardzo byśmy o to poprosili. My również jesteśmy w stanie współpracować, podać jakieś rozwiązania. My również proponowaliśmy panu ministrowi Miłkowskiemu, aby na przykład wyodrębnić grupę pacjentów, dzieci, które mają słaby dostęp dożylny, które mają choroby współistniejące, aby dla nich była możliwość zakupu tych czynników podskórnych, żeby nie narażać ich na takie cierpienie. Wiadomo, one są drogie, nie dla wszystkich, ale to nie jest duża grupa dzieci. Naprawdę wydaje się, że to dałoby się zrobić i wtedy zapewnilibyśmy tym dzieciom lepsze życie na odpowiednim poziomie. Dziękuję bardzo.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękuję bardzo. Bardzo proszę, pani.

Konsultant wojewódzki w dziedzinie genetyki klinicznej dla województwa mazowieckiego Krystyna Chrzanowska:

Dzień dobry państwu. Krystyna Chrzanowska, członek Rady do spraw Chorób Rzadkich. Miałam przyjemność kierować zespołem, który pisał ten program dla chorób rzadkich. Jestem też krajowym koordynatorem Orphanet. Mój instytut, należy do sieci Centrum Zdrowia Dziecka, gdzie pracuję jako genetyk kliniczny. Należy do kilku sieci. Moja jednostka należy do ERN-ITHACA, ale o tym nie będę mówić. Natomiast chciałabym nie pozostawić tej pani, która tutaj tak dramatycznym dramatycznie mówiła o sytuacji chorej pacjentki.

Przeszukałam, ponieważ wydawało mi się, że w Polsce jest przedstawiciel sieci europejskiej do kolagenoz, do różnych chorób tkanki łącznej. To jest Narodowy Instytut Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji, który należy do europejskiej sieci ERN-ReCONNECT. Należałoby więc tam się zwrócić, bo ten ośrodek ma też szansę skonsultować online, zdalnie, transgranicznie takiego pacjenta. Być może w Polsce nikt takiego pacjenta nie ma, a być może na przykład w tym ośrodku jest jakiś pacjent i tam państwo znajdą pomoc.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękuję bardzo. Bardzo proszę.

Ekspert Krajowej Izby Fizjoterapeutów Marta Jokiel:

Dziękuję. Pani przewodnicząca, szanowni państwo, Marta Jokiel, ekspert Krajowej Izby Fizjoterapeutów. Ja na wstępie chciałabym bardzo podziękować radzie ekspertów, bo uważam, że nic nie pokazuje interdyscyplinarnego charakteru naszej współpracy tak, jak właśnie choroby rzadkie. Natomiast chciałabym zwrócić uwagę na kilka bardzo istotnych aspektów.

O samej diagnostyce już mówiliśmy, jak jest ważna. Według danych, na przykład naszej pracowni, pacjenci z mutacjami tkanki łącznej czekają na prawidłową diagnozę średnio 8 do 10 lat, stanowiąc ogromne obciążenie dla systemu ochrony zdrowia, bo to są pacjenci, którzy błąkają się od specjalisty do specjalisty szukając odpowiedniej diagnozy.

Jeżeli chodzi o samo leczenie, mieliśmy dzisiaj bardzo dużą dyskusję na temat SMA, leków itd, natomiast chciałabym zwrócić państwa uwagę szczególnie na to, że zdecydowana większość pacjentów, czy leczona farmakologicznie czy w przypadku na przykład mutacji tkanki łącznej, gdzie nie mamy metod leczenia farmakologicznego, leczona jest zachowawczo i wymaga indywidualnie dobranego procesu rehabilitacji i fizjoterapii. Jednak najczęściej niestety wygląda to tak, że ten pacjent ginie w systemie, ponieważ czeka w kolejce tak jak każdy pacjent ze swoją chorobą, na którą tak naprawdę jedynym leczeniem jest to leczenie rehabilitacyjne i fizjoterapia oraz leczenie specjalistyczne z zakresu dolegliwości chorób, które towarzyszą temu pacjentowi.

Dlatego tak ważne jest, wydaje mi się, jeżeli już pacjent będzie miał kartę pacjenta z chorobą rzadką, aby umożliwić mu dostęp do tych specjalistów i do takiego postępowania, które jest dla niego najlepsze, jest indywidualnie dobrane. Jednak żeby to zrobić,

proszę państwa, musimy jeszcze bardzo mocno zadbać o edukację, ponieważ – co widzę przede wszystkim jako główny problem – nie każdy specjalista zna się na danej choroby rzadkiej. Skupia się na leczeniu objawów choroby, na której się najlepiej zna. W przypadku na przykład fizjoterapeutów, na objawach pacjenta, które aktualnie występują.

Dlatego jeżeli mogę zwrócić się do ministerstwa, to uważam osobiście – jako krajowa izba będziemy to absolutnie wspierać – że w karcie pacjenta powinny znaleźć się informacje dotyczące nie tylko samej choroby, ale też leczenia i wskazań oraz przeciwwskazań dla danego pacjenta, ponieważ nie każdy specjalista z danej dziedziny musi znać się na danej chorobie rzadkiej, tak samo jak nie każdy fizjoterapeuta musi znać szczegóły dotyczące tej choroby rzadkiej. Natomiast absolutnie musimy tutaj działać tak, aby ci pacjenci nie uciekali nam w tym całym systemie, ponieważ proszę państwa, według danych statystycznych bardzo duża część pacjentów, na przykład z mutacjami tkanki łącznej, rozwija objawy depresji i na przykład objawy przewlekłego obniżenia jakości życia, rezygnuje z pracy itd, wyłącznie dlatego, że nie ma wsparcia ze strony państwa i ze strony lekarzy prowadzących, fizjoterapeutów, ponieważ nikt nie dowierza istnienia tak skomplikowanej choroby. Bardzo serdecznie dziękuję.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękuję bardzo, bardzo proszę.

Prezes Krajowej Rady Diagnostów Laboratoryjnych Monika Pintal-Ślimak:

Dzień dobry. Szanowni państwo, Monika Pintal-Ślimak, prezes Krajowej Rady Diagnostów Laboratoryjnych. Szanowna pani minister, szanowna Komisjo, bardzo się cieszę, że wybrzmiało to, że diagnostyka laboratoryjna jest szczególnie istotna w rozpoznawaniu chorób rzadkich i bardzo się cieszymy, że zostało to dostrzeżone, bo bez badań laboratoryjnych te choroby nie byłyby rozpoznane.

Chciałam się tutaj odnieść do pytań, które padały, co zostało zrobione ostatnio w zakresie rozwoju badań genetycznych. Chciałabym bardzo serdecznie podziękować Ministerstwu Zdrowia za to, iż dostrzegło głosy środowiska diagnostów laboratoryjnych, ale nie tylko, że wsłuchało się w nasze prośby i został powołany, szanowni państwo, konsultant do spraw laboratoryjnej genetyki medycznej, za co serdecznie dziękujemy. Dzięki temu będziemy mogli zwiększyć nadzór również nad badaniami laboratoryjnymi, nad osobami, które wykonują czynności medycyny laboratoryjnej, diagnostami laboratoryjnymi. Mamy taką nadzieję, że specjalizacja z laboratoryjnej genetyki medycznej…

Mamy 286 specjalistów w tej dziedzinie, co nie było łatwe, bo jeszcze do ubiegłego roku, szanowni państwo, diagności laboratoryjni ponosili sami z własnych środków koszty finansowe tej specjalizacji. Uważam więc, że jak na 18 tys. osób to nie jest mało, ale chcielibyśmy również, aby ta specjalizacja została potraktowana jako priorytetowa. Jednocześnie oczywiście deklarujemy ścisłą współpracę i chęć współpracy z lekarzami klinicystami.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękuję pani bardzo. Bardzo proszę.

Konsultant krajowy w dziedzinie laboratoryjnej genetyki medycznej Edyta Borkowska:

Dzień dobry. Edyta Borkowska – poniekąd czuję się wywołana do odpowiedzi – konsultant krajowa w dziedzinie laboratoryjnej genetyki medycznej. Ja jestem, proszę państwa, pierwszy raz na takim posiedzeniu, tak więc to dla mnie ogromny zaszczyt. Dziękuję bardzo za możliwość wysłuchania dyskusji i wszystkich głosów.

Dziękuję też pani konsultant, profesor Annie Latos-Bieleńskiej, za w pewnym sensie zreferowanie obszaru, który już teraz mi podlega od ponad miesiąca. Mam nadzieję, że nasze działania podejmowane dla diagnostów laboratoryjnych specjalizujących się w dziedzinie laboratoryjnej genetyki medycznej, w moim odczuciu najlepiej przygotowanej grupy zawodowej do wykonywania badań genetycznych i wykonywania ich zgodnie ze standardami obowiązującymi w diagnostyce laboratoryjnej… Od ponad 20 lat mamy izbę zawodową. Od ponad 30 lat kształcimy studentów na tym kierunku i ta grupa zawodowa, która sprawuje nadzór nad innymi grupami zawodowymi pracującymi w labora-

toriach genetycznych, w liczbie prawie 400 w tej chwili już ze specjalizacją lub w trakcie specjalizacji, jest moim zdaniem wystarczająco dobrze przygotowaną grupą do współpracy w obszarze zarówno wykonywania badań w obrębie chorób rzadkich, jak też tych programów onkologicznych. Dziękuję bardzo.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękuję bardzo. O głos prosiła jeszcze pani prezes Ptok. Bardzo proszę i myślę, że będziemy kończyć. Poproszę jeszcze ministerstwo o podsumowanie.

Przewodnicząca OZZPiP Krystyna Ptok:

Pani przewodnicząca, szanowni państwo, wpisałam się tu również jako pełnomocnik Komitetu Inicjatywy Ustawodawczej, bo decyzją Sejmu prace nad projektem ustawy zostały skierowane do Komisji Zdrowia. Komisja Zdrowia zdecydowała o tym, że tworzy podkomisję, że to miało pójść sprawniej, być przeprocedowane. No tymczasem w ostatnim tygodniu…

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Pani prezes, ale to posiedzenie Komisji poświęcone jest chorobom rzadkim…

Przewodnicząca OZZPiP Krystyna Ptok:

Ja rozumiem…

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

…i bardzo bym prosiła, żeby tego tematu się trzymać, bo jeżeli każdy wejdzie i będzie mówił, co zostało zrealizowane, a co nie i czego jest przewodniczącym… Pani już będzie występowała w trzech albo w czterech rolach, no i chyba nie tędy droga i nie ta dyskusja.

Przewodnicząca OZZPiP Krystyna Ptok:

Komisja Zdrowia miała zająć się tym projektem. To moje krótkie pytanie, dlaczego dwukrotnie zostało odwołane posiedzenie podkomisji. Dziękuję bardzo.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękuję również. Pani minister, bardzo proszę. Padło na pewno bardzo dużo spraw, jeżeli chodzi o choroby rzadkie i bardzo proszę o ustosunkowanie się.

Podsekretarz stanu w MZ Urszula Demkow:

Bardzo dziękuję za udzielenie głosu. Bardzo się cieszę z każdej wypowiedzi i każdego komentarza. Na pewno te komentarze i te państwa głosy są bardzo cenne i poprowadzą nas w dobrym kierunku.

Generalnie kierunek jest taki, że „Plan dla chorób rzadkich" uruchamiamy na nowo. Musi to odbyć się zgodnie z procedurą, czyli musi pójść do konsultacji i potem być przeprocedowane przez rząd, ale miejmy nadzieję, że to będzie tylko formalność. No i generalnie kontynuujemy wszystkie zadania, które tam już wcześniej zostały założone.

Będziemy się starali implementować jak najszybciej. Niektóre zadania są łatwiejsze. Jesteśmy już – jak to pan przewodniczący mawia – przy brzegu. W przypadku innych zadań jesteśmy gdzieś daleko, na głębokim morzu i będzie na pewno trudniej. No, ale już nam państwo obiecaliście, że nas rozliczycie, więc jesteśmy bardzo przejęci tym rozliczaniem. Będziemy więc starali się pracować jak najlepiej, tym bardziej, że jest pewien walor tej naszej pracy, że są środki przeznaczone już na te choroby rzadkie, a więc największy ciężar mamy jakby zdjęty z głowy, że jest problem, a nie wiemy jak go rozwiązać od strony finansowej.

Bardzo mnie też poruszył głos pana, który jest ojcem chłopczyka chorego na hemofilię. Ja naprawdę nie miałam świadomości, mimo to, że jestem lekarzem, że to tak wygląda. Myślę, że będziemy musieli o tym pilnie porozmawiać, bo rzeczywiście w przypadku wielu terapii z dożylnych przechodzi się na podskórne, na przykład w immunologii. Immunoglobuliny zaczęło się podawać podskórnie i jest to krok we właściwym kierunku ze względu na skuteczność, ale też na jakość życia pacjenta, a w przypadku dzieciaków ta jakość życia... Sama jestem mamą, więc rozumiem, co to znaczy dla małego dziecka być kłutym regularnie. Tak więc postaram się, żeby mi nie zniknęło to z horyzontu.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Bardzo dziękuję pani minister.

Podsekretarz stanu w MZ Urszula Demkow:

Dziękuję bardzo.

Przewodnicząca poseł Elżbieta Gelert (KO):

Dziękuję również państwu, bo myślę, że wszystkie głosy były zauważone i na pewno będą wzięte pod uwagę. Dziękuję bardzo serdecznie.

Zamykam posiedzenie Komisji.